SR Research Report
2015/8/7

ナノキャリア（4571）

目次

損益計算書（百万円）	07年3月期	08年3月期	09年3月期	10年3月期	11年3月期	12年3月期	13年3月期	14年3月期	15年3月期	16年3月期 会社予想
売上高	**103**	**263**	**354**	**118**	**84**	**346**	**374**	**472**	**676**	**137**
前年比	-4.1%	154.0%	34.6%	-66.7%	-28.4%	310.7%	7.9%	26.3%	43.1%	-79.7%
売上総利益	**12**	**194**	**106**	**47**	**33**	**221**	**101**	**290**	**464**	
前年比	-	1564.4%	-45.3%	-55.9%	-29.2%	566.4%	-54.4%	187.2%	60.0%	
売上総利益率	11.3%	74.0%	30.1%	39.8%	39.4%	63.9%	27.0%	61.4%	68.7%	
営業利益	**-717**	**-453**	**-532**	**-493**	**-520**	**-334**	**-527**	**-1,123**	**-1,108**	**-2,666**
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益	**-727**	**-492**	**-524**	**-492**	**-550**	**-366**	**-432**	**-1,095**	**-171**	**-2,617**
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
当期純利益	**-729**	**-494**	**-524**	**-495**	**-555**	**-398**	**-484**	**-1,114**	**-207**	**-2,772**
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
純利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
1株当たりデータ　（円、千株、株式分割調整後）										
期末発行済株式総数	8,801	12,296	12,708	12,858	22,089	23,494	32,531	40,265	42,607	
EPS	-116.6	-54.6	-41.9	-38.7	-36.0	-17.4	-18.9	-30.4	-5.1	-65.1
DPS	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	0.0	
BPS	199.8	155.1	114.8	78.7	83.6	77.8	135.3	336.9	338.4	
貸借対照表　（百万円）										
現金及び預金、有価証券	1,718	1,755	1,369	1,006	1,872	2,981	5,155	7,247	13,772	
売掛金	4	0	43	6	6	1	5	27	237	
たな卸資産	43	121	11	22	60	99	181	203	51	
流動資産合計	**1,906**	**1,955**	**1,450**	**1,066**	**1,981**	**3,112**	**5,473**	**7,589**	**14,209**	
資産合計	**1,992**	**2,044**	**1,529**	**1,135**	**2,038**	**3,663**	**5,606**	**14,341**	**14,704**	
買掛金	7	4	9	11	2	5	50	40	17	
有利子負債	0	0	0	0	0	1,700	1,040	540	0	
負債合計	**233**	**136**	**71**	**121**	**189**	**1,804**	**1,205**	**744**	**202**	
株主資金	**1,759**	**1,908**	**1,458**	**1,012**	**1,848**	**1,829**	**4,353**	**13,563**	**14,407**	
ネット・デット	-1,718	-1,755	-1,369	-1,006	-1,872	-1,281	-4,115	-6,707	-13,772	
運転資本	40	118	46	17	65	95	136	190	271	
キャッシュフロー計算書（百万円）										
営業キャッシュフロー	-663	-588	-457	-452	-578	-293	-635	-1,098	-1,121	
投資キャッシュフロー	-62	-19	-4	-8	-5	-1,721	-121	-7,059	-2,562	
財務キャッシュフロー	1,143	643	75	97	1,449	1,924	2,327	9,581	505	
財務指標										
ROA	-42.7%	-24.4%	-29.3%	-37.0%	-34.6%	-12.8%	-9.3%	-11.0%	-1.2%	
ROE	-52.2%	-26.9%	-31.2%	-40.0%	-38.8%	-21.5%	-15.6%	-12.4%	-1.5%	
純資産比率	88.3%	93.3%	95.4%	89.4%	90.7%	50.7%	78.5%	94.8%	98.6%	

出所：会社データよりSR社作成

＊表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

直近更新内容

概略

2015 年 8 月 7 日、ナノキャリア株式会社は、新規抗体に関する国際特許共同出願に関して発表した。
（リリース文へのリンクはこちら）

国立研究開発法人国立がん研究センター、国立研究開発法人理化学研究所、および国立大学法人東京大学との共同研究成果である抗ヒト Tissue Factor モノクローナル抗体に関する国際特許共同出願を行い、2015 年 8 月 6 日付（欧州時間）で国際公開となった。

- 発明の名称:抗Tissue Factorモノクローナル抗体
- 特許権者:同社、国立研究開発法人国立がん研究センター、国立研究開発法人理化学研究所、国立大学法人東京大学

国立がん研究センター松村保広新薬開発分野長らの「がんと血液凝固」に関する長年の研究から、組織因子（Tissue Factor :TF）は、腫瘍細胞のみでなく腫瘍血管にも発現が認められ、TF をターゲットとする抗体は種々のがんにおいて最適なデリバリーツールになりうるものであることが明らかにされた。当該出願は、ヒト TF を標的とするモノクローナル抗体の中でもユニークな活性をもつ抗体に関するものである。抗ヒト TF モノクローナル抗体を表面に結合したエピルビシンミセルの研究を国立がん研究センターと共同で進め、また東京大学片岡一則教授らのチームによりダハプラチンミセルの抗体結合型ミセルに関する研究も進められており、同社の次世代型アクティブターゲティング技術 ADCM（Antibody/Drug-conjugated Micelle：抗体/薬物結合型ミセル）の応用範囲がさらに拡大するという。今後、当該成果の抗ヒトTFモノクローナル抗体をセンサーとしたADCMが新たなパイプラインとして加わると期待しているとのことである。

> Tissue Factor：組織因子。細胞膜結合型の 1 本鎖糖蛋白質で、外因系血液凝固反応の開始因子。血管に損傷を受けた場合に、血液凝固を開始し、出血を止める生体システム。Tissue Factor は、がん組織において多く発現していることが認められている。

2015 年 7 月 27 日、同社は、バイオ医薬品のデリバリー技術に関する製法特許欧州特許査定に関して発表した。
（リリース文へのリンクはこちら）

同社の次世代型 DDS 製剤の製造方法に関する出願特許が、欧州特許庁から特許査定を受けた。これにより、同社の核酸デリバリー技術「NanoFect®」等を改良できる特許が欧州で確保できることになったという。同社によれば、siRNA に代表される核酸医薬は、標的細胞に確実に

届けることが出来るキャリアシステムの開発がハードルとなっている。当該特許は、これを解決し核酸医薬を世界に普及できると期待される製法特許である。当該製法は核酸のみならず、ペプチドやタンパク質など、他のバイオ医薬品にも対応できる応用範囲の広い DDS 型医薬品に関する製法である。

なお、本件による 2016 年 3 月期業績へ直接の影響はないが、今後、他社との共同研究などを締結する際、ライセンスの根拠となる重要な知的財産と考えているという。

発明の名称：粒子状医薬組成物の製造方法
出願番号：11711242.5
特許権者：同社

2015 年 7 月 17 日、同社は、NC-6004 の米国 Phase II 臨床試験移行に関して発表した。（リリース文へのリンクはこちら）

同社は、NC-6004 の米国 Phase Ib/II 臨床試験の Phase Ib パートを当初の予定通り完了し、Phase II パートにおいて適応疾患を当初計画から拡大するために、改訂版 IND（Investigational New Drug）を FDA（Food and Drug Administration：米国食品医薬品局）に提出し、Phase II パートへ移行することを決定した。

今回の臨床試験は、バスケットデザイン試験*として開始するもので、対象疾患を 3 つに拡大して実施する。

> バスケットデザイン試験は、複数の適応症を対象に実施する臨床試験で、有効性・安全性を幅広く検討できる。これにより、有効性の高いがん種を短期間で見出し、早期の承認申請に向けた次ステージへの移行をスムーズにする効率的な試験システムである。

米国 Phase II 臨床試験の概要
対象疾患：非小細胞肺がん、膀胱がん、胆道がん
試験内容：NC-6004 とゲムシタビンの併用療法の有効性確認
試験期間：試験開始より約 2 年間（予定）

同社は、本件による 2016 年 3 月期業績への影響はないが、NC-6004 の製造販売承認取得の加速と市場の拡大が期待できる臨床試験であり、将来的には同社にとって大きな収益増大に繋がるものと期待するとしている。

2015 年 6 月 18 日、同社は、NC-6004（ナノプラチン®）の膵臓がんに対する国際共同治験

に日本が参加するための新薬治験開始届（IND 申請）を、6 月 18 日付で独立行政法人医薬品医療機器総合機構（以下、PMDA）に提出したと発表した。
（リリース文へのリンクはこちら）

国内で固形がんを対象に第Ⅰ相臨床試験を実施してきた NC-6004 の開発について、PMDA との協議の結果、国内第Ⅱ相臨床試験を実施せずに、アジア地域で先行している膵臓がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験に日本も参加することとなった。当該第Ⅲ相臨床試験は、NC-6004 の国内およびアジアでの上市に向けた承認を得るための最終試験である。

日本・アジア地域における第Ⅲ相臨床試験の概要
対象疾患： 転移性および進行性膵臓がん
試験内容： ゲムシタビンとの併用による NC-6004 の有効性検証試験
試験期間： ～2017 年 9 月（予定）

膵臓がんに対する当該治験の開始により、アジア地域のみならず国内マーケットも視野に入ることから製品の市場性が拡大する。また、NC-6004 の国内における製品上市時期の早期化が期待され、製品価値が更に高まることから、同社は、製薬企業へのライセンスにも弾みがつくものと考えいるとしている。

なお、本件による 2016 年 3 月期業績への影響はない見込みである。

2015 年 6 月 10 日、同社への取材を踏まえ、本レポートを更新した。

2015 年 6 月 9 日、同社は、頭頸部がんに対するＮＣ-6004 国内第Ⅰ相臨床試験 IND 申請に関して発表した。
（リリース文へのリンクはこちら）

同社は、NC-6004（ナノプラチン®）の頭頸部がんに対する国内第Ⅰ相臨床試験の新薬治験開始届（IND 申請）を、独立行政法人医薬品医療機器総合機構（PMDA）へ6 月 9 日付で提出した。なお、これによる 2016 年 3 月期業績への影響はないという。

同社によれば、頭頸部がんは、日本を含むアジア地域においてアンメットニーズが高い疾患である。手術の適応とならない頭頸部がんの標準治療は、化学療法と放射線療法の併用治療で、当該治療は、抗がん剤と放射線の併用で抗腫瘍効果の増強をめざし、手術と比較し臓器温存を図ることが期待できる。当該併用治療に用いられる化学療法の代表格の抗がん剤はシスプラチンであるが、シスプラチンが有する副作用を避けるために投与量を減量する必要があるなどの課題がある。同社が開発を進めている NC-6004 は、シスプラチンの抗腫瘍効果を効果的に

発揮する一方、副作用を軽減する新しいドラックデリバリー製剤である。同社はシスプラチンの有する課題を改善する目的で、NC-6004 と放射線の併用試験を開始することにした。

第 I 相臨床試験の概要

- 対象疾患：頭頸部扁平上皮がん
- 試験内容：放射線療法併用時のNC-6004の安全性および忍容性の検討、NC-6004の推奨用量の決定
- 試験期間：試験開始より約 2 年間（予定）

2015 年 5 月 14 日、同社は、2015 年 3 月期通期決算を発表した。
（決算短信へのリンクはこちら、詳細は 2015 年 3 月期通期決算の項目を参照）

2015 年 5 月 12 日、同社は、ダハプラチンミセル（N C-4016）に関する製法特許（分割出願）が欧州において特許査定を受けたことに関して発表した。

（リリース文へのリンクはこちら）

同社最重要パイプラインのひとつであるダハプラチンミセル（NC-4016）の製造方法に関する分割出願が、欧州特許庁から特許査定を受けたとのこと。なお、2016 年 3 月期の業績への影響はないという。

当該特許査定は、2013 年 3 月 21 日および 2013 年 4 月 4 日に発表した NC-4016 の製造方法に関する欧州特許査定に続くものであり、さらに新たな製造法（another process-variation）について追加で特許査定がなされたものである。今回の特許査定により、先行許可を得た欧州特許群と併せることで、NC-4016 の製造方法として原理的に取り得る製法の全てについて網羅的に独占権を確保できるため、製法特許ではありながらも物質特許による事業独占権に匹敵する程度の強固な特許網としても活用でき、既に同社が独占権を保有している物質特許の権利期間を超えて、NC-4016 の事業独占性の強固な確保を可能とする。なお、NC-4016 に関する製法特許は、日本、米国、中国、ロシア、オーストラリア、カナダ、韓国において既に特許査定を受け、保護されている。

- 発明の名称：白金錯体のポリマー化配位化合物の製造方法
- 特許権者：同社、国立大学法人東京大学

3 ヵ月以上経過した会社発表はニュース＆トピックスへ

業績動向

四半期業績推移

（百万円）	14年3月期 1Q	2Q	3Q	4Q	15年3月期 1Q	2Q	3Q	4Q	15年3月期 （達成率）	通期会予
売上高	150	176	119	28	57	254	47	317	100.1%	675
前年比	1430.2%	96.4%	16.7%	-83.9%	-62.0%	44.7%	-60.1%	1040.8%		42.9%
売上総利益	98	125	53	14	27	177	9	251		
前年比	-	209.9%	-14.9%	-51.1%	-72.4%	41.2%	-82.9%	1747.1%		
売上総利益率	65.2%	71.4%	44.8%	48.9%	47.4%	69.6%	19.2%	79.1%		
販管費	375	349	336	352	409	303	423	437		
前年比	151.8%	172.2%	114.6%	81.9%	8.9%	-13.3%	25.8%	24.2%		
売上高販管費比率	250.2%	198.7%	283.5%	1266.7%	717.5%	119.1%	894.1%	137.9%		
営業利益	-277	-224	-283	-339	-382	-126	-414	-187	-	-1,129
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-		-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-		-
経常利益	-190	-246	-197	-462	-461	312	190	-212	-	-189
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-		-
経常利益率	-	-	-	-	-	122.5%	401.1%	-		-
四半期純利益	-191	-246	-197	-479	-462	310	188	-244	-	-227
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-		-
四半期利益率	-	-	-	-	-	121.9%	397.8%	-		-

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

**会社予想は直近の値。

2015 年 3 月期通期決算実績

売上高は、契約収入、治験薬供給収入及び化粧品材料供給収入等により、676 百万円（前期は 472 百万円）、営業損失は 1,108 百万円（前期営業損失 1,123 百万円）、外国為替相場の変動による主に外貨建て預金の評価替えにより生じた為替差益 919 百万円、主に外貨建て定期預金にかかる受取利息 28 百万円等により、経常損失は 171 万円（前期経常損失 1,095 百万円）、当期純損失は 207 百万円（前期当期純損失 1,114 百万円）となった。

主要パイプラインの現況

シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）

アジア地域（日本、中国、インドを除き、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先である Orient Europharma Co. Ltd.とともに、台湾、香港、シンガポール及び韓国で転移性及び進行性膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験を実施している。

日本及び米国では、自社開発を推進しており、日本では、固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験がほぼ終了した。また、米国では、肺がん（非小細胞肺がん）を対象とする第Ⅰb/第Ⅱ相臨床試験がテキサス大学 MD アンダーソンがんセンターを含む複数の施設で行われており、患者への治験薬の投与及び患者登録が進められている。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）

固形がんを対象に米国における第Ⅰ相臨床試験が行われており、テキサス大学 MD アンダーソンがんセンターにおいて患者への治験薬の投与が進められている。

エピルビシンミセル（NC-6300）
全世界を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している興和社と共同開発を進め、日本国内における固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が実施中で、患者への治験薬投与が進められている。

パクリタキセルミセル（NK105）
日本を含むアジア地域を対象としたライセンス先である日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が転移・再発乳がんを適用対象にした第Ⅲ相臨床試験（国際共同試験）を進めている。

新規開発パイプライン
同社独自の抗体/薬物結合型ミセル「ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle）」を利用した次世代型医薬品の開発を推進している。ADCM は、 ADC（Antibody Drug Conjugate：抗体薬物複合体）の新しい概念となり得るアクティブ・ターゲティング技術であり、抗体医薬品の応用範囲を向上させることが可能であるという。同社は、ADCM を応用することで、医薬品候補物質のリプロファイルを進め、病変部位へのターゲット性能向上や副作用軽減などによる治療域拡大を目指し開発を推進している。エーザイ社より導入した E7974 に次世代型 ADCM 技術を適用することにより、癌細胞へのターゲティング性能を高め、毒性を軽減することで治療域を拡大する新規医薬品の開発を進めており、ヒトでの臨床試験開始に向けて準備を進めている。

また、低分子医薬品に加え、更に副作用が少ないとされている siRNA などの核酸や、タンパク質医薬品などの高分子医薬品に対するミセル化ナノ粒子技術の応用にも取り組んでいる。核酸やタンパク質などの高分子医薬品に関して、同社は、独自の核酸のデリバリー技術「NanoFect®」を確立し、さらに上記 ADCM を付加したアクティブ型 NanoFect®を用いることでターゲット機能を上げ、高分子医薬品の細胞内への侵入と薬物放出コントロールを可能にし、薬効を発揮することができる次世代型 DDS 医薬品の開発を進めている。中外製薬株式会社との間では、同社の核酸デリバリー技術（Active 型 NanoFect®）をもとに、これまでにないファースト・イン・クラスの siRNA 医薬品開発を目指し、共同研究開発を推進している。

化粧品事業の状況
化粧品事業については、アルビオン社が販売する美容液エクラフチュールの原材料であるナノセスタの出荷が堅調に推移している。アルビオン社とは、新たな美容液や育毛剤などの新製品の共同開発とその共同事業化を進めている。化粧品事業の拡大を見据え、同社は、2015 年 1 月より化粧品事業部を創設し、事業の推進体制を強化している。

事業開発等の状況

事業開発活動においては、2014 年 6 月に、エーザイ社所有の新規医薬品候補「E7974」の開発、販売等に関する独占ライセンス契約を締結した。同社は、E7974 に ADCM 技術を適用した抗体結合型 E7974 含有ミセル化製剤を次世代のパイプライン候補として、臨床試験実施を視野に入れた研究開発を進めている。

また、2015 年 2 月に中外製薬社との間で、中外製薬社が選択した siRNA 及び抗体に同社の active 型 NanoFect®技術を適用し、ファースト・イン・クラスの抗体結合型 siRNA 含有ミセル化製剤を開発することを目指した共同研究を行うことに合意し、共同研究契約を締結し、中外製薬社に対して第三者割当による新株式発行を行い、499 百万円を調達した。

2015 年 3 月期第 3 四半期決算実績

売上高は、治験薬供給収入や化粧品材料供給収入等により、359 百万円（前年同期は 444 百万円）、営業損失は 922 百万円（前年同期営業損失 785 百万円）、経常利益は 40 百万円（前年同期経常損失 633 百万円）、四半期純利益は 37 百万円（前年同期四半期純損失 635 百万円）となった。

第 2 四半期累計期間において、外国為替相場の変動による為替差益 346 百万円を営業外収益に計上したが、第 3 四半期（2014 年 10 月～12 月）では、外国為替相場の変動による為替差益 594 百万円が発生したため、第 3 四半期累計期間（2014 年 4 月～12 月）においては、940 百万円の為替差益を営業外収益に計上した。これは、同社の保有する主に外貨建て預金の評価替えにより発生したものである。

主要パイプラインの現況

シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）

アジア地域（日本、中国、インドを除き、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先である Orient Europharma Co. Ltd.とともに、台湾、香港、シンガポール及び韓国で転移性及び進行性膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験を実施しており、治験薬の投与及び患者登録が開始されている。更に、フィリピン及びマレーシアでも治験を実施すべく、治験届の準備が行われている。

日本及び米国では、自社開発を推進しており、日本では、固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が進められている。また、米国では、肺がん（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験（第Ⅰ相 b/第Ⅱ相）がテキサス大学 MD アンダーソンがんセンターを含む複数の施設で行われており、患者への治験薬の投与及び患者登録が進められている。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）

固形がんを対象に米国における第Ⅰ相臨床試験が行われており、テキサス大学 MD アンダーソンがんセンターにおいて患者への治験薬の投与及び患者登録が進められている。

エピルビシンミセル（NC-6300）
全世界を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している興和社と共同開発を進め、日本国内における固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が実施中で、患者への治験薬投与及び患者登録が進められている。

パクリタキセルミセル（NK105）
日本を含むアジア地域を対象としたライセンス先である日本化薬株式会社（東証1部4272）が転移・再発乳がんを適用対象にした第Ⅲ相臨床試験（国際共同試験）を進めている。

新規開発パイプライン
同社独自の抗体/薬物結合型ミセル「ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle）」を利用した次世代型医薬品パイプラインの開発を推進している。また、低分子医薬品に加え、更に副作用が少ないとされているsiRNAなどの核酸や、タンパク質医薬品などの高分子医薬品に対するミセル化ナノ粒子技術の応用にも取り組んでいる。核酸やタンパク質などの高分子医薬品に関して、同社は、独自の核酸のデリバリー技術「NanoFect®」を確立し、さらに上記ADCMを付加したアクティブ型NanoFect®を用いることでターゲット機能を上げ、高分子医薬品の細胞内への侵入と薬物放出コントロールを可能にし、薬効を発揮することができる次世代型DDS医薬品の開発を進めている。

化粧品事業については、アルビオン社が販売する美容液エクラフチュールの原材料であるナノセスタの出荷が堅調に推移している。アルビオン社とは、新たな美容液や育毛剤などの新製品の共同開発とその共同事業化を進めている。化粧品事業の拡大を見据え、同社は、2015年1月より化粧品事業部を創設している。

2015年3月期第2四半期決算実績

売上高は、治験薬供給収入や化粧品材料供給収入等により、311百万円（前年同期は326百万円）、営業損失は508百万円（前年同期営業損失501百万円）、経常損失は149百万円（前年同期経常損失436百万円）、四半期純損失は152百万円（前年同期四半期純損失437百万円）となった。

第2四半期累計期間において、外国為替相場の変動による為替差益346百万円を営業外収益に計上した。これは、同社の保有する主に外貨建て預金の評価替えにより発生したものである。

主要パイプラインの現況
シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004ナノプラチン®）
アジア地域（日本、中国、インドを除き、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先であ

る Orient Europharma Co. Ltd.とともに、台湾、香港およびシンガポールで転移性及び進行性膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験を実施しており、治験薬の投与及び患者登録が開始されている。更に、中国本土及び韓国で第Ⅲ相臨床試験を実施していく予定であり、韓国では治験届が承認され、近々に治験薬の投与が開始される予定であり、中国でも治験届の準備が行われている。
日本及び米国では、自社開発を推進しており、日本では、固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が進められている。また、米国では、肺がん（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験（第Ⅰ相 b/第Ⅱ相）がテキサス大学 MD アンダーソンがんセンターを含む複数の施設で行われており、患者への治験薬の投与及び患者登録が進められている。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
固形がんを対象に米国における第Ⅰ相臨床試験が行われており、テキサス大学 MD Anderson がんセンターにおいて患者への治験薬の投与及び患者登録が進められている。

エピルビシンミセル（NC-6300）
全世界を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している興和社と共同開発を進め、日本国内における固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が実施中で、患者への治験薬投与及び患者登録が進められている。

パクリタキセルミセル（NK105）
日本を含むアジア地域を対象としたライセンス先である日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が転移・再発乳がんを適用対象にした第Ⅲ相臨床試験（国際共同試験）を進めている。

新規開発パイプライン
同社独自の抗体/薬物結合型ミセル「ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle）」を利用した次世代型医薬品パイプラインの開発を推進している。また、低分子医薬品に加え、更に副作用が少ないとされている siRNA などの核酸や、タンパク質医薬品などの高分子医薬品に対するミセル化ナノ粒子技術の応用にも取り組んでいる。今後も、内外の製薬・バイオ企業や大学・研究機関等との共同研究も推進する。

また、核酸やタンパク質などの高分子医薬品に関して、同社は、独自の核酸のデリバリー技術「NanoFect®」を確立し、高分子医薬品の細胞内への侵入と薬物放出コントロールを可能にし、薬効を発揮することができる次世代型 DDS 医薬品の開発を進めている。

2015 年 3 月期第 1 四半期決算実績

2015 年 3 月期第 1 四半期累計期間の業績は、売上高は、治験薬供給収入や化粧品材料供給収入等により 57 百万円（前年同期は 150 百万円）となった。

マイルストーン収入の計上が無かったこと（前年同期のマイルストーン収入は 100 百万円）、治験薬の供給が第 2 四半期に集中することとなったことから、前年同期比で減収となった。

販管費は 409 百万円（前年同期比 8.9%増）となった。研究開発費はエーザイ社に対する E 7974 の契約一時金の支払いがあったものの 234 百万円（同 7.8%減）と前年同期比で若干減少した。一方、研究開発費を除く販管費は、オフィス移転費用、人件費等の増加により、前年同期比で増加した。

その結果、営業損失は 382 百万円（前年同期営業損失 277 百万円）となった。

外国為替相場の変動による為替差損 84 百万円（主に外貨建て預金の評価替えにより発生）を営業外費用に計上したことから、経常損失は 461 百万円（前年同期経常損失 190 百万円）、四半期純損失は 462 百万円（前年同期四半期純損失 191 百万円）となった。

主要パイプラインの現況
シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）
アジア地域（日本、中国、インドを除き、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先である Orient Europharma Co. Ltd.とともに、台湾、香港およびシンガポールで転移性及び進行性膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験を実施しており、治験薬の投与が開始されている。更に、中国本土及び韓国で第Ⅲ相臨床試験を実施していくことも決定されており、韓国では治験届が承認され、近々に治験薬の投与が開始される予定であり、中国でも治験届の提出準備が行われている。

日本及び米国では、自社開発を推進しており、日本では、固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が 2012 年 10 月から開始されている。また、米国では、肺がん（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験（第Ⅰ相 b/第Ⅱ相）の治験届が承認され、テキサス大学 MD アンダーソンがんセンターを含む複数の施設で、患者への治験薬の投与及び患者登録が進められている。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
固形がんを対象に米国における第Ⅰ相臨床試験を開始しており、2013 年 12 月より米国テキサス大学 MD Anderson がんセンターにおいて患者への投与が進められている。

エピルビシンミセル（NC-6300）
全世界を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している興和社と共同開発を進め、日本国内における固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が実施中で、2013 年 9 月から患者への治験薬投与が開始され、順調に進捗している。

パクリタキセルミセル（NK105）
日本を含むアジア地域を対象としたライセンス先である日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が転移・再発乳がんを適用対象にした第Ⅲ相臨床試験（国際共同試験）を 2012 年 7 月から開

始し、順調に進捗している。

新規開発パイプライン

同社独自の抗体/薬物結合型ミセル「ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle）」を利用した次世代型医薬品パイプラインの開発を推進している。また、低分子医薬品に加え、更に副作用が少ないとされている siRNA などの核酸や、タンパク質医薬品などの高分子医薬品に対するミセル化ナノ粒子技術の応用にも着手しており、今後も、内外の製薬・バイオ企業や大学・研究機関等との共同研究も推進する。

ADCM は、抗体などのセンサーをミセル表面に結合し、標的細胞選択性を改善し、より多くの薬物をより安全に標的細胞に届けることを可能にしたミセル化ナノ粒子システムの名称である。2014 年 6 月、同社はエーザイ社との間で、エーザイ創薬の高活性抗がん剤（E7974）の開発、販売等に関し、全世界を対象とする独占的なライセンス契約を締結した。E7974 に同社の ADCM 技術を応用することにより、薬剤がより選択的にがん部位にデリバリーされ、医薬品の治療域が拡大されることを目指す。

また、核酸やタンパク質などの高分子医薬品に関して、同社は、独自の核酸のデリバリー技術「NanoFect®」を確立し、高分子医薬品の細胞内への侵入と薬物放出コントロールを可能にし、薬効を発揮することができる医薬品の開発を進めている。

過去の通期実績は、過去の財務諸表へ

2016 年 3 月期会社予想

16年3月期予想（百万円）	15年3月期 通期実績	16年3月期 通期会予
売上高	**676**	**137**
前年比	43.1%	-79.7%
売上原価	212	
売上総利益	**464**	
前年比	60.0%	
売上総利益率	68.7%	
販売費及び一般管理費	1,572	
売上高販管費比率	232.6%	
営業利益	**-1,108**	**-2,666**
前年比	-	-
営業利益率	-	-
経常利益	**-171**	**-2,617**
前年比	-	-
経常利益率	-	-
当期純利益	**-207**	**-2,772**
前年比	-	-

出所：会社データよりSR社作成

売上高 137 百万円（前期比 79.7%減）、営業損失 2,666 百万円（前期は営業損失 1,108 百万円）、経常損失 2,617 百万円（前期は経常損失 171 百万円）、当期純損失 2,772 百万円（前期は当期純損失 207 百万円）を見込む。売上高の主な内訳は、アルビオン社が販売する化粧品等の原材料の販売収入を見込んでいる。なお、治験薬の出荷は見込んでいない。また、交渉中の共同研究や事業提携などの成果は会社予想に含めていない。

現行パイプラインの早期承認を目指した適応症の拡大という臨床試験戦略の見直しと、次世代パイプラインとなる抗体結合型ミセル化製剤等の研究開発の加速化を軸にした戦略的投資の拡大により、研究開発費は 2,202 百万円（前期比 109.0%増）を見込んでいる。

主要パイプラインの計画に関しては以下の通りである。

ナノプラチン®（NC-6004）

アジア地域を対象としたライセンス先である OEP 社と共同で膵がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験を実施しているが、今後は地域の拡大及び頭頸部がんの追加適応症を検討している。

米国における自社開発においては、非小細胞肺がんを対象とする第Ⅰb/Ⅱ相試験を実施中である。これに加え、シスプラチンで適応症が認められているがん腫の中から、数種の適応症を対象として、バスケットデザイン試験（Basket design trial）の方式で、2016 年 3 月期中に第Ⅰ/Ⅱ相試験または第Ⅱ相試験を開始し、早期承認を目指すために戦略的に臨床試験を展開していく計画である。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）

米国で固形がんを対象に、第Ⅰ相臨床試験を自社で進め、安全性と忍容性を確認している。今後は早期承認の可能性が高いがん種を特定のうえ、第Ⅰ/Ⅱ相試験を追加し、承認取得を目指す。

エピルビシンミセル（NC-6300/K-912）

興和株式会社とともに進めている固形がんを対象にした国内での第Ⅰ相臨床試験を実施しているが、今後は適応症追加も考慮しながら、乳がんの適応症に対する第Ⅰ/Ⅱ相試験を推進する。

新規パイプライン

エーザイ社より導入した E7974 に対する次世代型 ADCM 技術の適用により、癌細胞へのターゲティング性能を高め、毒性を軽減することで治療域を拡大する新規医薬品の開発を進めており、ヒトでの臨床試験開始に向けて準備を進めている。

また、中外製薬株式会社と共同で、同社の核酸デリバリー技術（Active 型 NanoFect®）をもとに、これまでにないファースト・イン・クラスの siRNA 医薬品開発を目指し、共同研究開発を推進する。

将来展望

主要パイプラインの動向が収益増大への道筋をつけることになろうが、マイルストーン収入の性質上、支払い時期が定まらないことから、売上高は引き続き変動が予想される。

主な収益源はマイルストーン収入およびロイヤリティ収入

中期的な収入として、実現性が高いと SR 社が予想しているのは、パクリタキセルミセル（NK105）のマイルストーン収入およびロイヤリティ収入、ナノプラチン®（NC-6004）のアジア地域を対象としたマイルストーン収入およびロイヤリティ収入である。

- パクリタキセルミセル（NK105）：日本化薬社資料によれば、パクリタキセルミセル（NK105）に関して、2015年度（2016年3月期）のNDA申請を予定している。同剤が承認された場合、同社にとってミセル化ナノ粒子技術として第1号の承認薬となる。日本化薬社とのライセンス契約に基づき、同社は同剤の承認取得時に一定のマイルストーンを日本化薬社から受け取る。また、製品の上市後、同社は日本化薬社から、正味販売高に一定料率を乗じたロイヤリティを受け取る。
- ナノプラチン®（NC-6004）のアジア地域における開発： 2014年2月から、OEP社主導で台湾において、膵がん患者に対し、同剤とゲムシタビン併用療法とゲムシタビン単独療法との比較検証試験（第Ⅲ相臨床試験）を行っている。2017年度（2018年3月期）に当該試験は終了する予定であり、2018年度（2019年3月期）の上市を目標としている。同社はOEP社との契約に基づき、開発、販売の段階に応じて、総額800百万円のマイルストーンを受け取る他、販売数量に応じたロイヤリティを受け取る。また、同社は製造に必要な原料を供給し、OEP社はこれについての対価を支払うことが定められている。

その他、既存パイプラインの進捗に伴うライセンスアウト、新たな提携などによる契約一時金を計上する可能性も考えられよう。

研究開発費は増加が見込まれる

費用面でいえば、2014 年 3 月期以降、ナノプラチン®（NC-6004）、ダハプラチンミセル（NC-4016）を始めとした自社による臨床開発の推進・加速化と siRNA、抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させるシステム ADCM など新規パイプラインの拡充、臨床開発への移行のための研究開発費用が増加する計画である。研究開発費は 2013 年 3 月期の 238 百万円から 2014 年 3 月期には 926 百万円に、2015 年 3 月期には 1,053 百万円に増加した。さらに、2016 年 3 月期には 2,202 百万円に増加する計画としている。

上記研究開発費の増加に対応するために、同社は 2013 年 10 月に新株発行による資金調達を行った。手取調達額は 9,069 百万円であった。同社によれば、資金使途は 2013 年 11 月から 2018 年 10 月までの主要開発パイプラインの一部及び新規開発パイプラインの試験研究その他の研究開発費用、その他の運転資金である。

事業内容

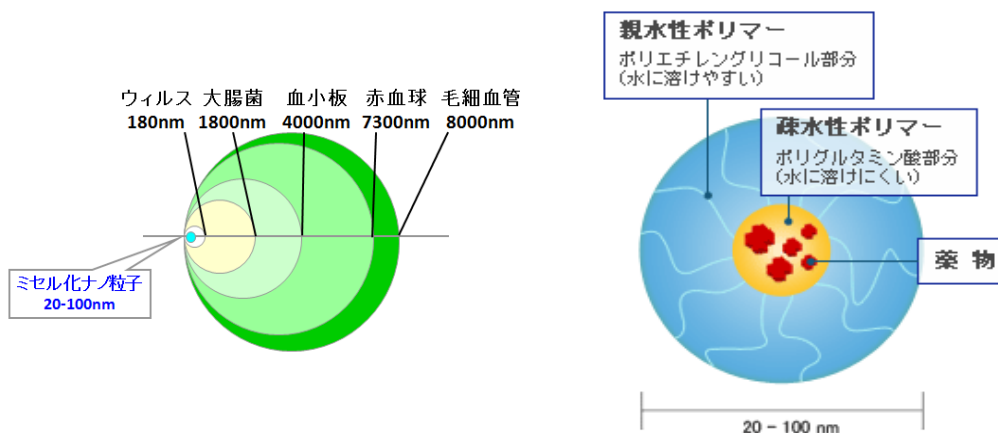
ビジネス

同社はミセル化ナノ粒子技術を用いたナノメディシンの開発を行う創薬ベンチャー企業である。

コア技術

同社のコアとなる技術の「ミセル化ナノ粒子（高分子ミセル）」は、極微小なナノサイズ（1 ナノメートル（nm）は 10 億分の 1 メートル）の粒子に薬を入れて体内に投与し、そのナノカプセルが病変部まで薬を運び、そこで薬物を放出させるというもので、DDS（Drug Delivery System：薬物送達システム）と呼ばれる手法である。

コアテクノロジー・フォーカス：ミセル化ナノ粒子技術

- ミセル化ナノ粒子は、水に溶けやすい性質を示すポリエチレングリコールから成る「親水性ポリマー」と水に溶けにくい性質を示すポリアミノ酸からなる「疎水性ポリマー」を一つの分子として結合させた「ブロックコポリマー（共重合体）」が基になっている
- ブロックコポリマーを水中でかき混ぜると、外側が親水性ポリマーで内側が疎水性ポリマーという明確な二層構造を有する20～100ナノメートルサイズの球状の粒子（ミセル）を形成する。この粒子の内部（ポリアミノ酸部分）に薬物を封じ込めたもの（封入したもの）がミセル化ナノ粒子である

出所：同社資料

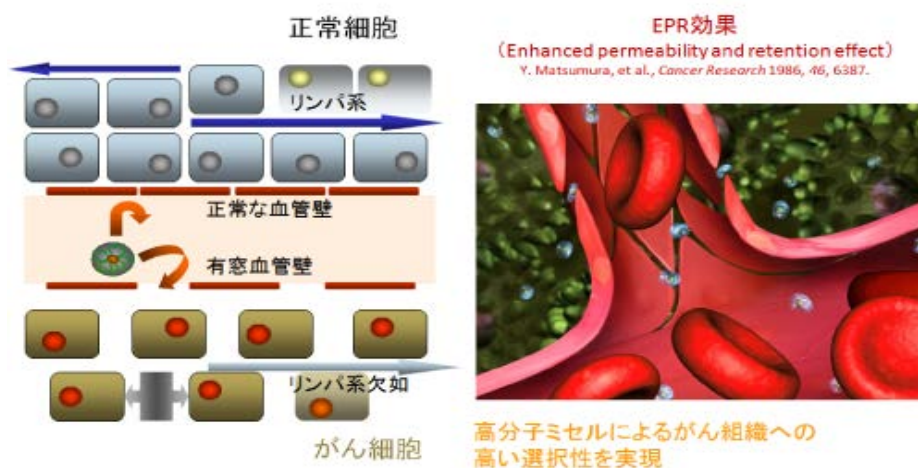
出所：同社資料

従来の抗がん剤は、がん化した増殖細胞と正常細胞の殺細胞効果には差がなく、全身に分布することにより正常細胞にも同様に作用する。そのため、投与されると一般的には副作用が現れる。

一方、同社が開発するミセル化ナノ粒子医薬品では、長時間血液中を循環し、患部に集中的に作用するので、他の正常細胞への作用を抑え、投与量が増やせるために、薬による副作用リスクの高いがん治療にも有効とされる。また、薬物が効きにくい耐性がん（治療に反応しないがん）に対しても効果があることが実証されている。

ミセル化ナノ粒子技術の特長についてまとめると以下のようになる。

- **主要臓器に捕捉される量が少ない。**種々のサイズの粒子が血管内投与されると、3,000nm程度以上の大きな粒子は肺に、300nm程度以上の粒子は脾臓に、100nm程度以上の粒子は肝臓に捕捉されてしまうとされている。しかし、同社のミセル化ナノ粒子のような100nmより小さな粒子であればこれらの臓器に捕捉される量を減らし、血液を循環してがん細胞に到達することが可能となる。
- **長時間循環することが可能。**人体は体内に入り込んだ細菌などの異物を免疫機構によって排除することが知られているが、通常の医薬品を投与した場合もその影響を受ける。しかし、ミセル化ナノ粒子の表面を覆うポリエチレングリコールは免疫機構から異物と認識されにくい性質を持つことから、粒子を静脈内に注射した後、血液の中を長時間循環することが可能となり、薬の効き目が高まることが期待される。
- **がん細胞へのターゲティングを可能にする。**がん組織は正常組織とは異なり細胞の増殖が速く、細胞が多くの栄養を必要とするために新生血管が多く形成されるといわれている。このような新生血管は急激に形成されるため、血管を形成する細胞同士の間隔が正常細胞と比べて広く、透過性が高いため、100nm 以下のミセル化ナノ粒子が血液の中を循環するうちにポケットに入るかのようにがん組織に集積すると考えられている。一方、がん組織ではリンパ管が未発達なため、ミセル化ナノ粒子は血液循環中に戻れず、腫瘍組織に滞留し易い。つまり、到達した時とは違い粒子が容易にがん細胞から排出されない。これは一般に、EPR 効果（Enhanced Permeation and Retention Effect）と呼ばれている。腫瘍組織に特有の血管新生作用でもたらされるこの効果により、抗がん剤はがん細胞で長時間維持される。

ミセル化ナノ粒子を体内に投与する概念

出所：同社資料

同社では、1）NanoCap®システム、2）Medicelle®システム、3）NanoCoat®システムの 3 つのミセル化ナノ粒子システムを用途に応じて使い分けたり、組み合わせたりしている。これらのシステムによって、難溶性薬物の可溶化や薬物の滞留性向上、特定部位へのターゲティング等が可能となる。

NanoCap®システム

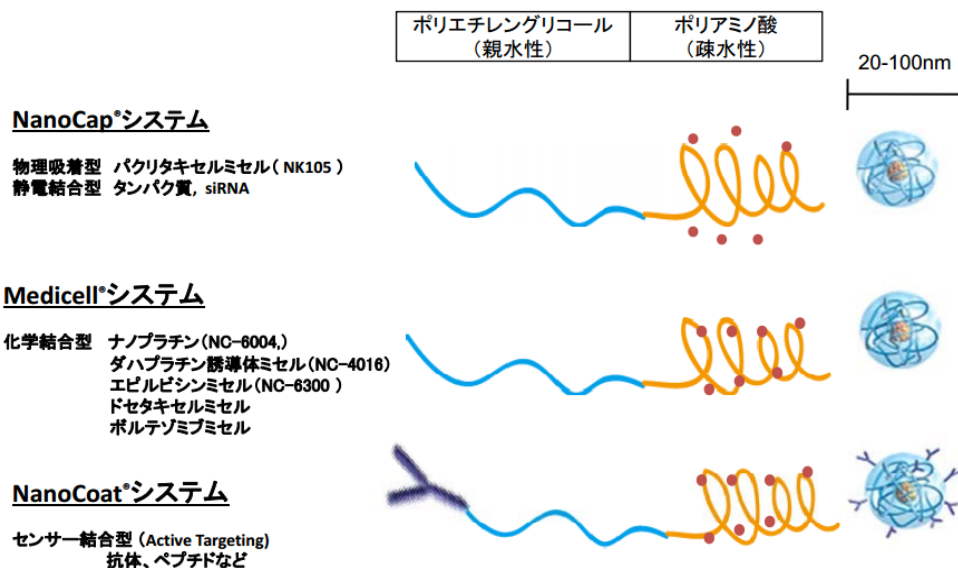
ミセル化ナノ粒子の内側をポリアミノ酸にすることで、水に溶けない薬物をそのままの状態で封じ込めるシステム。ポリアミノ酸は、水に溶けにくい油のような特性を持つため、水に溶けない薬物を油に溶かすような原理で封じ込める。これによって難溶性薬物の溶解性向上を可能にする。

2）MediCelle®システム

磁気結合または化学結合によって薬物を封入するシステム。一部の医薬品はプラスまたはマイナス電荷を有する。反対の電荷を帯びているポリマーを用いることによってこれらをミセル内に封じ込めたり、薬物とポリアミノ酸の一部を化学的に結合させてミセル化ナノ粒子に封じ込めたりするシステム。これによって、血液中の滞留性を向上させる効果がある。

3）NanoCoat®システム

薬物を封じ込めたミセル化ナノ粒子の表面に、がん細胞と選択的に結合するセンサーのような働きをする物質を付けることで効率良くがん細胞に結合させるシステム。センサーの役割を果たすものとして、抗体を使用することが可能である。特定部位へのターゲティング能力を強化する。

ミセル化ナノ粒子の各種システム

出所：同社資料

同社等が権利を所有する主な特許（2015 年 5 月時点）

同社は、ミセル化ナノ粒子技術を特許などの知的財産として所有し、ナノテクノロジーを応用した製造技術を基盤に創薬の研究開発を進めている。

Nano Carrierが権利を所有する主な出願特許(2015年5月現在)

パクリタキセルミセル（NK105）	難水溶性抗癌剤と新規ブロック共重合体を含むミセル調整物	ナノキャリア株式会社 日本化薬株式会社	日本、米国、欧州各国など21ヵ国で登録
	物理吸収型高分子ミセル	独立行政法人 科学技術振興機構	日本、米国、欧州各国など12ヵ国で登録
	薬物が封入されたポリマーミセルの製造方法及び該ポリマーミセル組成物	ナノキャリア株式会社	日本、米国、欧州各国など10ヵ国で登録
	薬物含有高分子ミセルの製造方法	ナノキャリア株式会社	日本登録 欧州各国など8ヵ国で登録 米国で審査中
	薬物含有高分子ミセルの凍結乾燥用組成物及びその凍結乾燥製剤	ナノキャリア株式会社	
ナノプラチン®（NC-6004）	シスプラチン内包高分子ミセル及びその使用	株式会社東京大学TLO	日本、米国、欧州各国など23ヵ国で登録
	医薬組成物又は組合せ剤	ナノキャリア株式会社	日本、米国、欧州など10地域で審査中
	シスプラチン配位化合物の液体組成物	ナノキャリア株式会社 国立大学法人東京大学	日本、米国、欧州など10地域で審査中
ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）	ジアミノシクロヘキサン白金（II)とポリ（カルボン酸）セグメント含有ブロック共重合体との配位錯体、その抗腫瘍剤	株式会社東京大学TLO	日本、米国、欧州各国など24ヵ国で登録
	白金錯体のポリマー化配位化合物の製造方法	ナノキャリア株式会社 国立大学法人東京大学	米国など5ヵ国で登録 日本、欧州など4地域で審査中
	ジアミノシクロヘキサン白金（II）とブロック共重合体との配位化合物及びそれを含有する抗がん剤	国立大学法人東京大学	欧州各国など7ヵ国で登録 日本で特許査定
タンパク質ミセル	静電結合型高分子ミセル薬物担体とその薬剤	株式会社東京大学TLO	日本、欧州各国など11ヵ国で登録 米国で審査中
	生理活性ペプチドまたはタンパク質内包高分子ポリマーミセルおよびその製造方法	ナノキャリア株式会社	米国で登録 日本、欧州など8地域で審査中
	易崩壊型ポリマーミセル組成物	ナノキャリア株式会社	日本で登録 米国、欧州など11地域で審査中
siRNAミセル	静電結合型高分子ミセル薬物担体とその薬剤	株式会社東京大学TLO	日本、欧州各国など11ヵ国で登録 米国で審査中
	生物活性物質を担持するためのもしくは担持する微小粒子を含む組成物ならびにそれらの調製方法	株式会社東京大学TLO	日本、米国、欧州各国を含む7ヵ国で登録
	ポリエチレングリコール-ポリカチオンブロック共重合体	国立大学法人東京大学	日本、米国など5ヵ国で登録 欧州で特許査定
	非荷電性親水性ブロック及び側鎖の一部に疎水性基が導入されたカチオン性のポリアミノ酸ブロックを含んでなる共重合体、その使用	国立大学法人東京大学	日本、米国、欧州など8地域で審査中
	カオチン性のポリ（アミノ酸）およびその使用	国立大学法人東京大学	日本で登録 米国、欧州にて審査中
	粒子組成物及びこれを有する医薬組成物	ナノキャリア株式会社	日本で登録 米国、欧州など7地域で審査中
	粒子状医薬組成物	ナノキャリア株式会社	日本で登録 米国、欧州など7地域で審査中
	短鎖のカチオン性ポリアミノ酸およびその使用	ナノキャリア株式会社 国立大学法人東京大学	日本で登録 米国、欧州にて審査中
センサー結合型ミセル	薬物内包アクティブターゲット型高分子ミセル、医薬組成物	ナノキャリア株式会社	日本など3ヵ国で登録 欧州、米国など6地域で審査中
pH応答性ミセル	pH応答性高分子ミセルの調整に用いる新規ブロック共重合体及びその製造方法	国立大学法人東京大学	日本で審査中
	薬剤複合体用ブロック共重合体及び医薬組成物	ナノキャリア株式会社	日本、欧州各国など15ヵ国で登録 他1ヵ国で特許査定 米国など6地域で審査中
ドセタキセルミセル	ドセタキセル高分子誘導体、並びにその製造方法及びその用途	ナノキャリア株式会社	日本、米国、欧州など9地域で審査中

出所：同社資料よりSR社作成

パイプライン

パイプライン開発の進捗状況とスケジュール（2015 年 3 月時点）

品目	対象患者	ステージ	地域		状況	上市予定	開発形態/企業
ナノプラチン NC-6004	膵がん	PⅢ	アジア	台湾	患者投与中 （2014年2月～）	2018年度予定	共同開発 OEP
				シンガポール	患者投与中		
				香港	患者投与中		
				韓国	患者投与中		
	肺がん	PⅠb/Ⅱ	米国		患者投与中 （2014年5月～）		
	固形がん	PⅠ	日本		患者投与完了 生存調査継続中	米国での自社開発 早期承認を見据え、新たな試験を準備中	
ダハプラチン NC-4016	固形がん	PⅠ	米国		患者投与中 （2013年12月～）		
エピルビシンミセル NC-6003/K-912	固形がん	PⅠ	日本		患者投与中 （2013年9月～）	2024年度予定	共同開発 興和
パクリタキセルミセル NK105	乳がん	PⅢ	日本・アジア		2015年度 NDA申請予定*		ライセンス 日本化薬

出所：同社資料よりSR社作成
*日本化薬の資料から

開発中のパイプラインはパクリタキセルミセル（NK105）、ナノプラチン®（NC-6004）、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）及びエピルビシンミセル（NC-6300)の主要パイプライン４品目と、siRNA、ADCM などの新規開発パイプラインである。

ナノプラチン®（NC-6004）

ナノプラチン®（NC-6004：シスプラチン誘導体ミセル）は、同社のミセル化技術を抗がん剤のシスプラチンに応用して開発した薬物である。

シスプラチンは、その薬効により各領域のがん化学療法の中心的薬剤となっている。その一方で、同剤は重篤な嘔吐を引き起こし、投与の際には長時間にわたる大量の輸液が必要とされ、QOL（Quality of Life、患者の生活の質）の著しい低下をもたらす。また、腎機能障害や神経毒性などの副作用があり、治療の中止や延期を招いてきた。

同社は、シスプラチンが持つこれらの副作用を軽減し、かつ抗腫瘍効果の増強も期待できる新薬の開発を目指し、新規のブロックコポリマーと結合させた新規化合物であるナノプラチン®（NC-6004）を調製した。

ナノプラチン®（NC-6004）は、非臨床試験の結果、薬物の徐放性、がん組織への蓄積性、腎毒性の軽減及び神経毒性の軽減が認められ、同社は 2006 年 5 月より英国で第Ⅰ相臨床試験を開始した。しかし、主に新規株式公開前から公開後にかけて株式市場の低迷が原因で十分な資金調達ができなかったため、欧州において次の段階の臨床試験を続けることを断念。より低コ

ストのアジア地域で次の臨床試験を進展させざるを得なくなった。

最終的に、同社は台湾に拠点を置く医薬品・化粧品製造輸入企業、Orient Europharma Co., Ltd.（以下、OEP 社）にナノプラチン®（NC-6004）をライセンスアウトし、アジア地域（日本、中国、インドを除く）、オセアニアでの独占権を与えることとなった。OEP 社は、臨床試験費用の半額を負担すると同時に同社から薬剤を販売価格の一定割合の値段で購入する。

更に、2012 年 11 月、OEP 社に対し、全世界を対象とする製造権を付与する新たなライセンス契約、OEP 社の子会社に対する同社の出資契約を締結した。当該契約において、膵臓がんを含め、アジア地域における NC-6004 の開発に関しては、今後は OEP 社が主体となり、同社は共同開発の立場で協力する。開発費用については OEP 社が負担する。また、OEP 社は、今後、非独占製造権に対する対価として、開発、販売の段階に応じて同社に対し、総額 800 百万円のマイルストーンを支払う他、販売数量に応じたロイヤリティの支払いを行う。同社は製造に必要な原料を供給し、OEP 社はこれについての対価を支払うことが定められている。その他、OEP 社への製造権付与に伴い、OEP 社は台湾で医薬品製造子会社を設立して製造工場の建設を予定であり、同社は当該子会社に出資する。OEP 社は 2013 年 9 月に OP Nano 社を設立、同社は OP Nano 社に対し、29.5 百万円台湾ドルを出資した。工場の完成は 2016 年 12 月を予定している。

台湾政府は、バイオ・医薬産業の国家レベルでの振興を目的に 2012 年 8 月 31 日に新たな産業振興のためのガイドラインを発表しており、このガイドラインをもとに、台湾食品薬物管理局（TFDA: Taiwan Food and Drug Administration）および経済部工業局（IDB: Industrial Development Bureau, Ministry of Economic Affairs）などは、台湾の国内企業が新薬の研究開発を行う場合に、医薬品の早期承認取得や薬価の優遇をはじめ、様々な規制をできる限り緩和するとともに、援助策を講じる方針を打ち出している。今回、両社が締結したライセンス契約の内容について同社は、当該振興・援助策の適用を受ける基準を満たしており、NC-6004 の開発・承認の迅速化、早期化の促進に大きく貢献するものと期待しているとのことである。また、台湾・中国間での協議の進展次第では、今後、上記の製造子会社を通じて、中国市場へアプローチできる可能性も高まったという点で本契約の意義は大きいとも述べている。

ナノプラチン®（NC-6004）の開発進捗状況

膵がんを対象とした第 I 相/第 II 相臨床試験

OEP 社は、台湾およびシンガポールにおいて第 I 相/第 II 相臨床試験を実施、膵がんに標準治療薬として使われているゲムシタビンとの併用療法が進められた。

同社は 2013 年 6 月にナノプラチン®（NC-6004）について、第 I/II 相試験が終了し、アジア地域を対象とした第Ⅲ相臨床試験に関する治験計画届書を、TFDA（Taiwan Food and Drug Administration:台湾食品医薬品局）に提出したことを発表した。

第 I 相/第 II 相臨床試験では、安全性に関して、シスプラチンに特有の腎障害、消化管毒性、

神経障害、聴覚障害などは、発生頻度・程度共に低く、大量の電解質補液の投与（Hydration）なしで、シスプラチン製剤で知られている腎障害は効果的に低減できることが確認された。

有効性に関しては、既存治療（アブラキサン及びゲムシタビン）の文献値と比較してほぼ同等であった。当該治験ではシスプラチンを用いる標準治療で行われる一般的な大量の電解質補液の投与（Hydration）処置を行わずに実施したため、ナノプラチン®（NC-6004）投与時に軽い腎障害が検知された。その結果、ナノプラチン®（NC-6004）の投与量を半減する措置が 7 件の症例で実施されていたことが影響している可能性が考えられるとしている。第Ⅲ臨床試験においては、ナノプラチン®（NC-6004）投与量の減量の要因となっている腎障害に対し、少量のハイドレーションを追加することで、有効性データの向上を図る。

膵がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験（アジア）

第Ⅲ相臨床試験は、OEP 社主導で、台湾において 2014 年 2 月に患者への投与が開始された。また、2014 年 11 月現在、シンガポール、香港において患者を登録中である。さらに、韓国では治験届が承認され、治験薬の投与が開始される予定であり、中国では治験届の準備を行っている。局所進行性または転移性膵がん患者に対し、ナノプラチン®（NC-6004）及びゲムシタビン併用療法とゲムシタビン単独療法との比較検証試験を、症例数 300 例を対象に行う予定としている。アジアにおいては、第Ⅲ相臨床試験の期間は約 3 年、2017 年度（2018 年 3 月期）に終了の予定であり、2018 年度（2019 年 3 月期）の上市を目標としている。

加えて、アジア地域においては OEP 社と共同で、頭頸部癌を対象とした臨床試験（第Ⅱ相/第Ⅲ相）の実施を目的とした IND 申請を計画している。

固形がんを対象とした第Ⅰ相臨床試験（日本）

同社は、2012 年 10 月に、日本国内においても自社開発により、固形がんを対象に第Ⅰ相臨床試験を開始した。標準治療薬として使われているゲムシタビンとの併用療法が進められており、当該試験は、予定例数約 20 数例、当該試験は 2014 年度（2015 年 3 月期）に終了の予定とされている。日本において 2020 年度（2021 年 3 月期）の上市を目標としている。

肺がんを対象とした第Ⅰ相臨床試験（米国）

同社は、グローバル展開を計画しており、米国において 2014 年 5 月に肺がん（非小細胞肺がん）を対象とし、拡大臨床試験（第Ⅰ相 b/第Ⅱ相）がテキサス大学 MD アンダーソンがんセンターを含む複数の施設で開始されており、患者への治験薬の投与及び患者登録が進められている。当該試験は、予定例数約 80 例、2017 年度（2018 年 3 月期）に終了の予定である。米国では 2020 年度（2021 年 3 月期）の上市を目標としている。

また、シスプラチンで適応症が認められているがん腫の中から、数種の適応症を対象として、バスケットデザイン試験（Basket design trial）の方式で、2016 年 3 月期中に第Ⅰ/Ⅱ相試験または第Ⅱ相試験を開始し、早期承認を目指すために戦略的に臨床試験を展開していく計画

である。

同社によれば、従来の試験では1つの適応症を対象に臨床試験を実施し、有効性・安全性を検討する。それに対し、バスケットデザイン試験では、複数の適応症を対象に臨床試験を実施し、有効性・安全性を幅広く検証する。例として、イマチニブ（グリベック）の臨床試験では、各種遺伝子検査をしながら、複数の適応症に対し試験を実施し、その中で有効な適応症に対し申請する方法が採られた。その結果、イマチニブでは隆起性皮膚繊維肉腫、好酸球増加症候群、骨髄増殖性疾患、などが適用症として認められた。

ナノプラチン®（NC-6004）の類似剤の年間世界売上高、市場規模、業績貢献

ナノプラチン®の類似剤はオキザリプラチン、ゲムシタビン、カルボプラチンであり、それぞれのピーク時年間売上高はそれぞれ2,272億円（2007年）、1,720億円（2008年）、905億円（2003年）（EvaluatePharma推定値。各剤の全適用・グローバルでの売上高が対象。括弧内は達成年を示す。1ドル＝100円で換算）である。

同社によれば、ナノプラチン®（NC-6004）のターゲットとなる膵がんの患者数は約19万人、売上高を概ね年間800億円と推定しているとのことである。

ダハプラチンミセル（NC-4016）

ダハプラチンミセル（NC-4016）は、オキザリプラチンが生体内で代謝されて生じるダハプラチンをブロックコポリマーと結合させ、ミセル化ナノ粒子に封入した薬物である。

オキザリプラチンは、国際的に大腸がんの標準的薬剤として成功を収めている抗がん剤だが、嘔吐、末梢神経障害（手足のしびれといった症状）などの深刻な副作用を引き起こすことが知られており、治療中止の大きな要因となっている。オキザリプラチンは、いったん体内に入ると、がん細胞の繁殖を抑える効果のある（抗がん活性のより強い）ダハプラチン誘導体へと変換される。同社は、ダハプラチンをミセル化ナノ粒子へ結合・封入(MediCelle®システム)することで、オキザリプラチンが持つ副作用を軽減し、かつ抗腫瘍効果の増強も期待できると考えている。

Debiopharm社との共同開発は2011年3月に契約終結

同社は2005年3月に、オキザリプラチンを開発したDebiopharm S.A.と、ダハプラチンミセル（NC-4016）についての共同研究を経て、2009年3月に、ライセンス及び供給契約を締結した。その後、Debiopharm社により欧州で第I相臨床試験が実施されていたが、2011年3月に契約を終結した。同社はこれまで、Debiopharm社から、当該契約に基づくアップフロント収入及び治験用製剤の供給による販売収入並びに第I相臨床試験開始に伴うマイルス

トーン収入等を得ている（なお、同社が 2012 年 3 月期以降、新たな提携先とライセンス契約を締結した場合、同社は受領したマイルストーン収入の一部を Debiopharm 社に支払うこととなっている）。

ダハプラチンミセル（NC-4016）は、これまで、固形がん患者 48 例に投与され、28.8mg/㎡の用量まで進んだ。

ダハプラチンミセルの開発進捗状況

固形がんを対象とした米国第 I 相臨床試験

同社は、固形がんを対象に米国における第 I 相臨床試験を 2013 年 12 月より開始しており、米国テキサス大学 MD アンダーソンがんセンターにおいて患者への投与が開始されている。当該試験は、予定例数約 20 例、2014 年度（2015 年 3 月期）に終了する予定である。同社は 2024 年度（2025 年 3 月期）の上市を目標としている。

ダハプラチンミセル（NC-4016）に関しては、第 II 相臨床試験までを同社単独で試験を行い、その後は共同開発またはライセンスアウトの開発形態を採ることで、開発費負担の軽減、マイルストーン収入、ロイヤリティ収入の獲得を狙っていると SR 社は予想する。

ダハプラチンミセル（NC-4016）の類似剤の年間世界売上高

ダハプラチン誘導体ミセルの類似剤はオキザリプラチンであり、ピーク時年間売上高は 2,272 億円（2007 年）（EvaluatePharma 推定値。各剤の全適用・グローバルでの売上高が対象。括弧内は達成年を示す。1 ドル＝100 円で換算）である。

エピルビシンミセル（NC-6300/K-912）

エピルビシンは、アントラサイクリン系の抗がん剤で、DNA のらせん構造の間に入り込んでその合成を阻害すると共に、酵素の働きを抑制して、DNA を切断する。適用対象は広く、中でも乳がんの治療において重要な役割を担っている。一方、副作用として最も問題となっている心毒性について、ミセル化により軽減することが示されている。

エピルビシンミセル（NC-6300/K912）は、東京大学・片岡教授らが基本的なコンセプトを確立した pH 応答性ミセルシステムを同社が導入して改良・開発したものである。同社によれば、ミセルにより細胞内に取り込まれた後に pH が低下し、エピルビシンが細胞内に爆発的に放出される画期的なシステムであり、基礎研究ではアントラサイクリン系薬物に耐性を獲得したがんにも効果があることが確認されている。

エピルビシンミセル（NC-6300/K912）の動物実験では、血中滞留性が大幅に改善され、が

ん細胞への集積が高まっていることも示されている（参考文献：Improved anti-tumor activity of stabilized anthracycline polymeric micelle formulation , NC-630：M.Harada, I.Bobe, H.Saito, N.Shibata, R.Tanaka, T.Hayashi, Y.Kato, Cancer Science 102（1） 192-199（2011））。また、同社によれば、ヒト肝がんモデル実験では、腫瘍がほとんど消滅し、ヒト乳がんモデル実験でも、エピルビシン溶液投与と比較し、大幅な腫瘍増殖抑制効果が明らかとなったとのことである。さらに、ミセル化によりエピルビシンの心臓への蓄積が大幅に抑制されていることから、副作用を軽減することへの期待も高まっている模様である。

NC-6300 の開発進捗状況

2011 年 9 月、同社は興和株式会社との間でライセンス及び共同開発に関する契約を締結し、エピルビシンミセル（NC-6300/K912）は新たに主要パイプラインに加わった。

同社と興和社の契約内容は以下のようになる。

- 同社は興和社に対し、エピルビシンミセル（NC-6300/K912）最終製剤の全世界における販売権及び製造権を許諾する
- 販売権及び製造権の許諾として、同社は最大で総額24億円のマイルストーンを受領することになる（フェーズ毎に受領する）
- 同社はエピルビシンミセル原薬を興和社に継続的に供給する
- 上市後、同社は販売額に一定料率を乗じた継続的実施料を受け取る予定

固形がんを対象とした国内第 I 相臨床試験

2013 年 5 月、同社はエピルビシンミセル（NC-6300/K912）の国内 IND 申請を行った。対象疾患は進行性や転移性の固形がんであり、2013 年 9 月から投与が開始されている。当該試験は、予定例数約 20 例、2014 年度（2015 年 3 月期）の終了を予定している。2024 年度（2025 年 3 月期）の上市を目標としている。

エピルビシンミセル（NC-6300/K912）の類似剤の年間世界売上高

エピルビシンミセル（NC-6300/K912）の類似剤はドセタキセル、パクリタキセル、パクリタキセル DDS 製剤、ドキソルビシン DDS 製剤であり、それぞれのピーク時年間売上高はそれぞれ 3,039 億円（2009 年）、1,593 億円（2000 年）、1,780 億円（2018 年）、669 億円（2010 年）（EvaluatePharma 推定値。各剤の全適用・グローバルでの売上高が対象。括弧内は達成年を示す。1 ドル＝100 円で換算）である。

パクリタキセルミセル（NK105）

パクリタキセル（タキソール®）は、卵巣がん、肺がん、乳がん、胃がんなどの適応症で世界的に普及している抗がん剤である。同剤は、投与の際に水に溶けにくいため、アルコールを基

にした特殊な溶媒が使用されている。薬物による副作用に加えて、これら溶媒による副作用も生じる。そのため、投与時に副作用軽減のために補助薬剤（ステロイド剤や抗ヒスタミン剤）を投与するなど医療現場での使い難さが指摘されている。同社は、ミセル化ナノ粒子技術（NanoCap®システム）により、パクリタキセルを封入したミセル化ナノ粒子を製造することに成功した。これがパクリタキセルミセル（NK105）である。

同社は日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）とミセル技術を用いてパクリタキセルを改善する共同研究を実施。その後、日本化薬社はその研究結果に基づきパクリタキセルミセル（NK105）を開発することを決定し、2002 年 6 月に同社から技術ライセンスを受けた。これにより、日本化薬社は、日本とアジアにおける独占販売権および世界のその他の国々における非独占的販売権を得た。

当該ライセンス契約に基づき、同社は承認取得時に一定のマイルストーンを日本化薬社から受け取る。また、製品の上市後、同社は日本化薬社から、正味販売高に一定料率を乗じたロイヤリティを受け取る。

パクリタキセルミセル（NK105）の開発進捗状況

乳がんを対象とした第 I 相臨床試験
タキソール®が標準療法である乳がんを対象とした治験を、2010 年 8 月より第 I 相臨床試験が開始された。その後、日本化薬社は、2012 年 7 月より転移・再発乳がんを対象とした第 III 相比較臨床試験を開始（第 II 相臨床試験は上記結果をもってスキップ）した。

乳がんを対象とした第 III 相比較臨床試験
当該試験は、転移・再発乳癌を対象に、パクリタキセル製剤群と NK105 群の有効性、安全性を比較する無作為化・多施設国際共同試験で、主要評価項目は無増悪生存期間。目標症例数は 380 例で、試験期間は 2 年半を予定しているという。日本化薬社資料によれば、2015 年度（2016 年 3 月期）の NDA（New Drug Application：新薬承認申請）を予定している。

パクリタキセルミセル（NK105）の類似剤の年間世界売上高、市場規模、業績貢献

パクリタキセルミセルの類似剤はドセタキセル、パクリタキセル、パクリタキセル DDS 製剤であり、ピーク時年間売上高はそれぞれ 3,039 億円（2009 年）、1,593 億円（2000 年）、1,780 億円（2018 年）（EvaluatePharma 推定値。各剤の全適用・グローバルでの売上高が対象。括弧内は達成年を示す。1 ドル＝100 円で換算）である。

新規開発パイプラインおよび応用展開

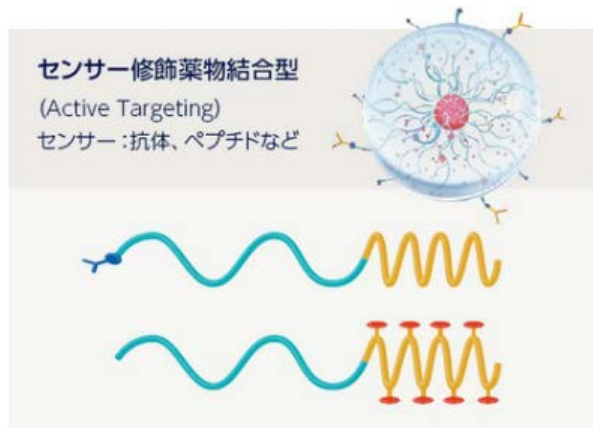
新規開発パイプラインについては、抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させるシステム ADCM（Antibody/Drug-Conjugated-Micelle）、siRNA、などの拡充、提携パートナーを含めたフィージビリティスタディを進めている。また、研究開発の応用展開として、化粧品の共同開発、原材料供給を行っており、新たに育毛剤等の開発も推進している。

センサー結合型ミセル（ADCM）

同社は、標的細胞を狙ったターゲティング療法を目的とし、高分子ナノミセルにバイオセンサーを結合させる可能性についての評価試験を行っている。

センサー結合型ミセル（ADCM :Antibody/Drug-Conjugated Micelle:抗体結合型のミセル化ナノ粒子）は、ミセル化ナノ技術と抗体を結合させるシステムである。薬物を内包したミセル粒子の表面に、がん細胞などの抗原に対するセンサーとして機能する抗体を結合して、がん細胞などのタンパクや抗原を認識させ、薬物を標的細胞に届ける。

例として、がん細胞などに現れる特異的な抗原を認識する抗体をミセル化ナノ粒子表面に結合して、がん組織への選択性を高めることが挙げられる。同社によれば、抗体と薬物が結合したミサイル療法より多くの薬物を標的細胞に届けることができるため、従来の製薬と比較し、10 倍以上の治療効果が期待できるほか、がん組織への選択性を高めることにより、従来の製剤に比べて副作用の軽減、既存治療での耐性がんに対する効果も期待できるとしている。

同社が開発を進めている ADCM では、センサーは抗体のみならず、タンパク質やペプチドが結合でき、薬剤は低分子化合物から、核酸のような高分子化合物までデリバリーすることが可能である。また、同社は ADCM と siRNA を組み合わせたデリバリー技術（Active 型 NanoFect®）を確立しているという。1 粒子のセンサー量は数個で抗原に対して充分なターゲティングが可能であり、1 ミセル内には数百個の薬物を内包することが出来るとしている。2014 年 5 月現在、日本、米国、欧州、カナダ、オーストラリア、中国で ADCM に関する物質特許が成立している。

出所：同社資料

抗体結合型 E7974 含有ミセル化製剤

2014 年 6 月、同社は、エーザイ株式会社（東証 1 部 4523）所有の新規医薬品候補「E7974」の開発、販売等に関し、全世界を対象とする独占的なライセンス契約を締結した。同社によれば、抗がん剤 E7974 は、エーザイ社が米国で第 I 相臨床試験まで進めたが、有効性が高い反面、副作用の問題もあったことから、開発の継続を検討していたという。同社はエーザイ社との共同研究を進める中で、E7974 に ADCM 技術を適用することにより、ヒト膵がんモデルで治療指数（Therapeutic index）を約 30 倍に拡大できることを確認したとしている。当該研究成果を踏まえ、同社は抗体結合型 E7974 含有ミセル化製剤について、開発及び製品化する期待度が高いと判断し、自社開発品目として開発していくことを決定し、ライセンス契約に至ったという。

当該ライセンス契約に基づき、同社は契約締結時に一定の契約金を、また、開発スケジュールに則し、開発が一定の段階に進んだときに一定のマイルストーンをエーザイ社に支払う。他方、同社の開発が進捗し、一定の段階に達した場合などに、当該新規医薬品候補の開発、販売権等を同社から買い戻すための優先交渉権をエーザイ社に付与することも契約に盛り込まれている。

同社によれば、 E 7974 のライセンス契約に関して、従来のビジネスモデル（「ビジネスモデル」の項参照）と大きな違いはなく、第 I 相臨床試験まで自社開発で進め、有用性を証明できた段階で、ライセンスアウトを行う意向であるという。2015 年 5 月以降の 2 年以内に米国 IND 申請を目標としている。

siRNA ミセル

siRNA（small interfering RNA、阻害的低分子 RNA）とは、細胞内の mRNA（メッセンジャーRNA、タンパク質を構成するアミノ酸配列情報を持つ RNA）を破壊することで、配列特異的に遺伝子発現を抑制する特徴を備えている。つまり、細胞内で病気に関連する特定のタンパクの生合成を抑制できるという特徴を有するため、siRNA をデザインすることで、様々な疾患に対して効果を発揮する医薬品の開発が可能となると期待されている。siRNA 医薬品の治療効果が期待される分野は、がん、AMD（加齢性黄斑変性症）、呼吸器多核体ウイルス、脈絡膜血管新生、糖尿性黄斑浮腫、喘息、高コレステロール血症状などがある。

siRNA は体内に投与されると直ちに分解されてしまうという大きな欠点を持っており、最近では大手製薬企業も開発を断念するなど、「siRNA 医薬品」開発に大きな壁となって立ちはだかってきた。そのため、血中に投与できる製剤とするためには、確実な細胞内デリバリー技術による安定化は必要不可欠とされる。同社はデリバリー技術を東京大学よりライセンスインし（注）、siRNA ミセルの開発を進めている。この核酸デリバリー技術に関する物質特許は 2010 年 9 月に日本で登録されている。

注：同社は 2009 年 5 月 25 日に東京大学および株式会社東京大学 TLO とカチオン性のポリアミノ酸（プラスに荷電したアミノ酸の集合体）に関する独占ライセンス契約を締結した。同ライセンス契約によって同社は、従来のミセル化ナノ粒子によるデリバリー技術に加えて、新たな技術を導入することができた。新たな技術とは、カチオン性ポリアミノ酸によるデリバリー技術であり、siRNA と高分子イオン複合体（プラスに荷電した高分子とマイナスに荷電した高分子が結合した複合体）を形成して、細胞質内へ siRNA を特異的に放出できる技術である。

NanoFect™

2013 年 6 月、同社は、核酸デリバリー技術の開発を東京大学との共同研究および自社研究の双方で進め、血中での消失が早い siRNA をミセル化することにより、安定化することに成功したことを発表した。siRNA は細胞内に入って初めて効果を発揮するが、これまで難しいとされていた細胞質内への侵入にも成功し、静脈注射によるがん治療効果を動物実験にて確認した。

効果が強く特徴の異なる 3 つのシステムの開発に成功しており、フィージビリティスタディを開始、2013 年 6 月以降、商標を NanoFect™ に統一して、企業へのライセンス活動を推進するとともに、自社開発パイプラインとしての可能性を追求する方針である。

3 つのシステムの特徴は以下の通りで、それぞれのシステムは粒子の大きさや特徴・性質が異なっており、適応がん腫や使用方法、がんが増殖している組織の違いなど様々な変化に対応できることを目指している。

- システムA：３つのシステムの中で一番大きな微粒子サイズ（直径約120～140nm）を持ち、細胞内に取り込まれ易く、細胞質内に効率良く移行できるシステム。

- システムB：粒子は中程度のサイズ（直径約30～50nm）で、生体内に投与した後の血中ではsiRNAを放出せず安定で、細胞内に取り込まれた後に細胞内に多く存在する ATP（注）によって放出されるシステム。

注：ATP は Adenosine Triphosphate（アデノシン３リン酸）のことで、生体内、特に細胞内ミトコンドリアで産生されるエネルギー源であるが、様々な物質の代謝、カルシウムや鉄の細胞内濃度の調節、細胞周期やアポトーシスの調節などにも大きく関わっている。

- システム C： 一番小さな微粒子（直径約10～20nm）で、血中滞留性に優れており、標的細胞までの経路が細いなどの課題に対応できるシステム。

Active 型 NanoFect®

Active 型 NanoFect®は、核酸医薬品のデリバリー技術である NanoFect™ と ADCM を組み合わせた技術である。前述の通り、siRNA などの核酸医薬は、体内へ投与されると速やかに分解されるため、その効果を発揮するためにはキャリアシステムが必須となる。Active 型 NanoFect®は、センサーは抗体により、標的細胞へ結合し、細胞内へ侵入、薬物を放出することで効果を発揮するシステムとして、開発を進めている。

Active 型 NanoFect®の作用メカニズム

➢ ミセル内に薬物を安定に大量に内包
➢ 抗体により、標的細胞を特定し、送達

例）Active型NanoFect®を細胞に添加すると
抗体（緑）が細胞表面に結合

➢ 細胞内取り込み開始（エンドサイトーシス）

例）30分後、細胞にミセルがエンドサイトーシス
（黄色）

➢ ミセル内から内包薬物を放出
➢ 抗腫瘍効果を発揮

例）75分後、siRNA（赤色）がエンドソーム脱出し
細胞質内に移行

出所：同社資料

中外製薬社との共同研究契約締結

2015年2月、同社と中外製薬株式会社（東証1部4519、以下、「中外製薬社」とする）との間で、中外製薬社が選択したsiRNA及び抗体に同社のactive型NanoFect®技術を応用して、ファースト・イン・クラスの新規siRNAミセルの開発を目指した共同研究を行う共同研究契約を締結した。

当該共同研究契約には、今後、中外製薬社が同社の保有する特許等や当該共同研究における成果を利用して医薬品の開発及び事業化を希望する場合、優先的に同社から特許等の独占的実施の許諾を受けるオプション権を保有することも含まれ、同社はオプション権付与の対価として一定額を受領する。

また、当該共同研究の研究開発費として、2015年3月、同社は中外製薬社に対し、第三者割当による新株式発行（389千株、希薄化率0.97%）を行い、500百万円（差引手取額495百万円）を調達した。

同社は当該共同研究を2015年5月以降の2年以内に研究を終了し、ライセンス契約につなげたいとしている。

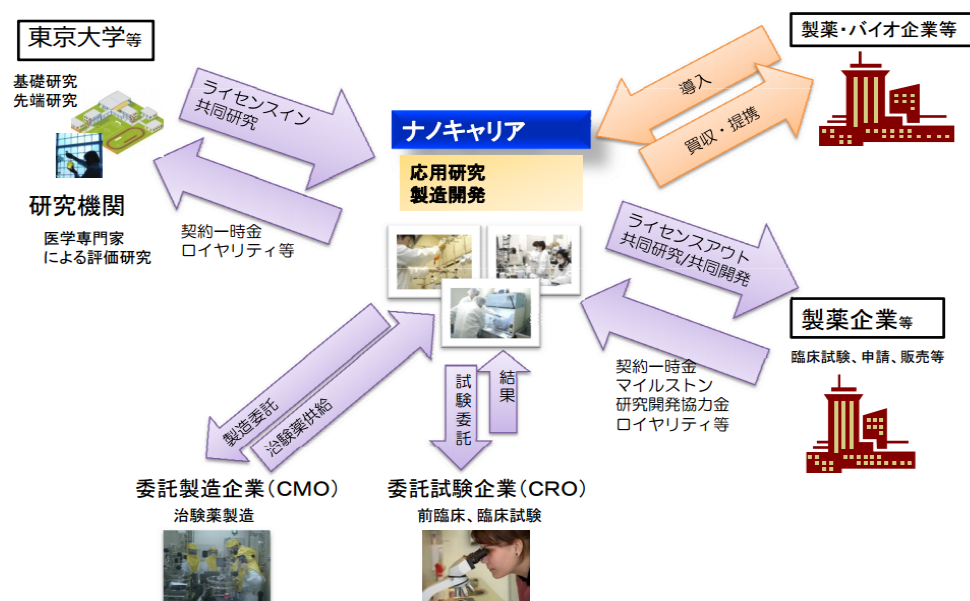
応用展開（化粧品）

同社のミセル化ナノ粒子技術が応用できる分野として、スキンケアも挙げられる。2010年10月に「エクラフチュール-W」美容液を発売した。同社は、医薬品製剤の研究開発中に、ミセル化ナノ粒子が、皮膚の角層深部に留まる性質を発見、化粧品に適する性質として、化粧品への応用開発を進めてきたと説明している。

2012年7月、同社は株式会社アルビオン（以下、アルビオン社）と、新たな化粧品素材の共同開発及びこれによって開発された素材を使用した化粧品の商業化について正式な合意に達した。同社はアルビオン社に対し、化粧品素材として使用される原料の供給を継続的に行い、アルビオン社は同素材を用いた新しい化粧品として、製品名は「エクラフチュール®」を2013年10月より発売開始した。同社が医薬品開発で実績を積む「高分子ミセルのナノ粒子」に、アルビオン社が独自に厳選した美容成分を内包。肌深部の効かせたい部分に届かせ、長時間美容成分を送り続ける効果があると同社は述べている。

また、2013年9月にアルビオン社と育毛剤、乳液などの新たな化粧品分野での共同開発および事業化について契約を締結した。化粧品や育毛剤などの製品群拡大により、売上の拡大と収益性向上を目指すとしている。2016年3月期中に化粧品や育毛剤の商品化を目指すという。

ビジネスモデル

同社は、大学や研究機関と知的財産権のライセンスインや共同研究を行い、その成果を基に新しい薬物の自社開発や提携企業へのライセンスアウトを行う。また、提携企業と共同研究開発を行っている。

出所：同社資料

同社は、ミセル化ナノ粒子技術をプラットフォーム技術として捉え、複数の企業が新薬開発に利用し、副作用が高く忍容性が低い既存薬、開発段階で中断した化合物の性能向上、有効性向上を図ることにより、新規医薬品の可能性を高め、開発を促進する方針である。同社は原則として、1）自社開発、2）共同研究開発、3）ライセンスアウト、の 3 つの形態で事業を推進している。それぞれの内容は以下の通りである。

1） 自社開発
自社開発の場合、開発医薬品の上市もしくは臨床開発後期段階まで自社開発を行い、自社販売を行った場合、当該製品の販売による収入が計上されることとなる。ただし、多額の費用と人員を要することから、同社は非臨床試験及び臨床試験を行い、臨床試験で有用性を証明できた段階で、3）ライセンスアウトに移行していく方法を選択している。

2015 年 5 月時点で、ナノプラチン® （NC-6004）、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）が自社開発の例に該当する。

2）共同研究開発
同社のミセル化ナノ粒子製剤技術に興味を示した提携先とミセル製剤化に関する共同研究契

約を締結する場合などがある。基本的には同社が製剤を開発し、提携先がその評価をして、良好な評価が得られた場合は 3）ライセンス契約などに移行すると考えられる。

中外製薬との siRNA 医薬品の共同研究がこのビジネスモデルに該当する。

3）ライセンスアウト
1）自社開発、2）共同研究開発態においては、研究開発の経過段階で、ライセンスアウトを行う。ライセンス契約の形態により違いはあるが、一般的には、同社は提携時に支払われる契約一時金（アップフロント）収入や開発進捗状況に応じて支払われるマイルストーン収入を得るほか、研究開発用の製剤を供給する場合には、それに対応する収入を得ることになる。また、製品上市後は、同社が最終製品の売上に基づくロイヤリティ収入を得ることが可能となっている。

日本化薬社へライセンスアウトした NK105（パクリタキセルミセル）がこのビジネスモデルに該当している。

<u>同社にとっての主な収入源は以下の通り：</u>

- 研究開発協力金および補助金：パートナー企業および政府機関との契約に基づく収入
- 契約一時金（アップフロント）：各ライセンス契約の開始にあたり、その締結時に受け取る収入
- マイルストーン：開発の各段階で受け取る収入
- ライセンス料：製品上市後に支払われる、固定額あるいは正味販売高に応じて料率の変わるロイヤリティ収入

ライセンサー（例えば同社のようなバイオテック企業）が受け取る標準的ロイヤリティのパーセンテージの概算は、契約によって様々である。よく参照されるケース（Medius Associates 2001）によれば、非臨床段階で約 0～5%、第 I 相臨床試験段階で 5～10%、第 II 相では 8～15%、第 III 相では 10～20%、認可薬に対しては 20%以上であるとしている。

SW（Strengths, Weaknesses）分析

強み

- **ミセル化ナノ粒子技術**：様々なブロックコポリマーを改変してミセル化ナノ粒子を製造し、有機・無機物質をミセル粒子に封入する技術経験こそが強みであると、同社経営陣は述べている。
- **特許**：上記技術は30件以上の特許出願によって保護されている。
- **さらなる基礎技術の入手機会**：同社はサイエンティフィック・アドバイザーを務める東京大学片岡教授およびそのチームとのリレーションを有する。同教授は同社創設者の一人であり、今後も継続的な協力が得られると思われる。

弱み

- **上市に至った薬剤がない**：同社には2015年5月時点で、同社のパイプラインで上市に至っているものはなく、同社は継続的な収益源が限られているといえよう。
- **市場での認知度**：同社は新薬開発型企業としての地位を確立しようと努めているが、これまでのところは主に初期技術をライセンスアウトしていることで、新薬開発ではなくDDSの開発のみのメーカーと見なされかねない。これは市場からは成長の可能性の芽を摘んでいると評価されかねない。経営陣は、自社が正真正銘の新薬開発企業である点を強調している。

市場とバリューチェーン

マーケット概略

製薬市場において抗がん剤は全世界的にみて最上位の市場規模を誇る領域である。

抗がん剤の世界市場規模

日米欧での抗がん剤市場規模(2011年度)
4兆3,794億円

内訳:
日本 16.3% （ 7,133億円）
米国 46.6% （2兆 393億円）
欧州 37.1% （1兆6,268億円）

世界の抗がん剤のトップ15ブランド （2011年度）

順位	ブランド	種類	企業	売上（億円）
1	Rituxan/MabThera	分子標的薬	Roche/全薬工業	5445
2	Avastin	分子標的薬	Roche	4763
3	Herceptin	分子標的薬	Roche	4728
4	Glivec/Gleevec	分子標的薬	Novartis	3727
5	Revlimid	その他抗がん剤	Celgene	2567
6	Alimta	代謝拮抗剤	Eli Lilly	1969
7	Velcade	分子標的薬	武田薬品/J&J	1600
8	Erbitux	分子標的薬	BMS/Merck Serono	1502
9	Eloxatin	白金製剤	Sanofi/ヤクルト本社	1482
10	リュープリン/Lupron/Enantone	ホルモン製剤	武田薬品/AbbVie	1478
11	Xeloda	代謝拮抗剤	Roche	1219
12	Tarceva	分子標的薬	Roche	1126
13	Taxotere	アルカロイド系	Sanofi	1023
14	Sutent	分子標的薬	Pfizer	950
15	Zoladex	ホルモン製剤	AstraZeneca	943

出典:2013年世界の抗癌剤市場

出所：同社資料

タキソールの世界売上は 2000 年に 16 億米ドルでピークとなり、後に別のタキサン系抗がん剤であるタキソテール（ドセタキセル）に取って代わられた。タキソテールは サノフィ（Sanofi）社が販売している評価の高い抗がん剤で、売上成長が続いており、2008 年には売上高が 20 億ユーロに達したが、2010 年に特許切れとなった。タキソールは 2003 年に特許切れとなった。

主要な白金系抗がん剤であるオキザリプラチンについては、主要パイプラインの項目を参照されたい。

DDS（薬物送達システム）は、生化学およびナノテクノロジーの進歩によって 1990 年代後半に生まれた新研究領域である。同社はがん領域を中心に、DDS 医薬品の研究開発を進めている。DDS は、腫瘍や他の疾患細胞に対する薬物放出制御を可能にするだけでなく、受動・能動的なターゲティングも可能にする。DDS 技術によって薬効の増大、副作用の軽減、使い勝手の改良（投薬回数減、薬剤費の削減、患者の QOL 向上）など、従来の医薬品の改善が見込まれる。

本レポートで触れている同社開発のミセル化ナノ粒子以外にも、DDS 技術には、高分子マイクロスフェア、ハイドロゲル、生分解性ポリマー、デンドリマー、電気活性ポリマー、および改質 C-60 フラーレン（バッキーボール）など様々なものがある。

現在上市されている DDS 医薬品および分子標的薬を以下にいくつか紹介する:
ドキシル（卵巣がん、エイズ関連カポジ肉腫; ジョンソン&ジョンソン社）。ドキシルは主に、白金系抗がん剤が有効でない場合に卵巣がんの治療に使用される（「競合環境」も参照のこと）。

アブラキサン（転移性乳がん）。Abraxis BioScience 社（Nasdaq: ABII）は、世界初のパクリタキセル DDS 製剤としてアブラキサンを 2005 年に発売した。キャリアとしてアルブミンを使用する。アブラキサンは AstraZeneca 社と共同販売されており、2009 年の売上高は 3 億 1,500 万米ドルに達した（2008 年は 3 億 3,600 万米ドル）。アブラキサンの延命効果について、NK105 の妥当な比較対象であるか否かについては議論の余地があると SR 社では考える。いずれも DDS 薬物であるが完全に異なる送達システムを使用しており、おそらく異なる薬効と毒性プロフィールを持つと思われる。

イレッサ（一般名ゲフィチニブ）とは、AstraZeneca 社および Teva 社が販売する抗がん剤である。イレッサは EGFR（上皮成長因子受容体; 変異するとがんを引き起こす場合があるタンパク質）を阻害する作用がある。タルセバ（エルロチニブ、中外製薬社／Roche 社）は別の類似抗がん剤である。

ハーセプチン（一般名トラスツズマブ）とは、Genentech 社（Roche 社が買収）が開発した抗体薬であり、乳がんの直接トリガー機構の一つとして同定された HER2/neu と呼ばれる受容体と結合することにより作用する。

アバスチン（一般名ベバシズマブ）とは、Genentech/Roche 社が開発した別のモノクローナル（一つの細胞のクローニングによって生成された）抗体薬であり、腫瘍中の血管の形成を阻害することで作用する（血管新生と呼ばれ、新生を止める薬は血管新生阻害剤である）。

これらの抗がん剤について指摘される問題点は、腫瘍の成長を遅くする作用はあってもがん細胞を死滅させる効果が低いことである。同時に、これらは他の薬剤と併用投与することによってより効果的に作用するとされており、その例としてよくオキザリプラチンが挙げられる。

同社は新規株式公開目論見書上で、同社のナノミセル技術によって開発される新薬は、いわゆる分子標的薬である上述の抗がん剤と併用してがん治療に使用することができるとしている。また、ターゲティングの改善を図るために、ナノミセルにこれらの分子標的薬を封入するといった可能性もあり得るとしている。

サプライヤーおよび技術供給元

同社は自社技術を用いたナノミセルの生産に必要なポリマーおよび試薬を購入している。これらの特定の供給業者に対する依存度は高いと見られる（括弧内は 2014 年 3 月期仕入高に占める割合）。

- 日油株式会社（東証1部4403）：65,681千円（32.8%）
- 家田ケミカル株式会社：34,230千円（17.1%）
- コーア商事株式会社：30,000千円（15.0%）
- 川原油化株式会社：25,900千円（12.9%）

同社は、これまでと同様に今後も株式会社東京大学 TLO（東京大学が研究者の発見を事業化するために設立）から、実用化に向けた基礎技術の獲得を継続的に行っていくと見られる。過去には、そうした技術はまず独立行政法人科学技術振興機構（JST）に譲渡され、同社が JST から技術供給を受けることもあったが、その基礎技術の大半は東京大学片岡教授およびその研究チームにより開発されたものである。

参入障壁

認可に成功した医薬品への参入障壁は特許保護により非常に高い。その反面、研究開発段階で障壁の高さを判断することは困難である。実際、東京大学片岡教授らの国際レベルと見られる基礎研究を利用する権利を有することは一種の障壁といえるものの、多数の競合技術および優位性の主張が存在する。技術が上市段階に近づくに従い、その勝者は明らかになるであろう。

同社が研究開発に取り組む特定の技術が、製品化され成功を収めることができれば、同社の特定領域における研究の優位性は極めて高いため、参入障壁は非常に高くなるはずである。

競合環境

新規薬剤化合物の中から関連のある潜在的な競合品を特定することは難しい。同社は、実質的に全く新しい技術を開発している。日本および世界で類似の化合物あるいは類似の原理に基づく技術を用いて新薬を開発している企業は数社ある。

同社は、新規株式公開目論見書やその他参考資料で、抗がん剤、特にパクリタキセルおよびシスプラチンに適用するリポソーム担体が潜在的な競合品であると触れている。リポソームとは、膜によって保護され、内部に物質を集積しターゲットとする細胞まで送達するために使用される超微粒子である。ドキシル（PEG 化リポソームカプセル封入ドキソルビシン）はこうした

薬物の例である（ドキソルビシンは有効であるが、心臓毒性の強い抗がん薬である）。リポソーム担体は、概念上はナノミセルと非常に類似しているが、薬物を集積、送達および放出する方法が異なる。同社によれば、このような違いは、リポソーム担体の薬物保持力、放出の制御および薬物選択の低下に結びつく。

同社に似たアプローチで、放出制御、抗がん剤・その他の薬物のターゲティングと毒性軽減の問題解決に向けた製品の開発を行っているバイオテック企業や、がんのターゲティング治療法に取り組んでいるベンチャー企業も数社ある。

Novosom AG は、ドイツのバイオ企業であり、「電荷を有した逆相リポソーム」と呼ぶ技術を核酸治療剤の送達に用いている。これは、周囲の pH 要因によってその電荷をマイナスからプラスに変化させるリポソームである。CD40 拮抗剤と呼ばれる薬剤が非臨床段階にある。

Calando Pharma Inc.は、薬物送達技術を開発する米国のバイオテック企業である。IT-101は、Calando 社のシクロサート（Cyclocert）（TM）技術を用いて可溶化したカンプトテシン（抗がん剤の一種）であり、現在非臨床段階にある。Calando 社の強みは、シクロデキストリンおよび PEG を含むポリマーナノ粒子の製造に関するノウハウであると見られ、Calando 社はこのノウハウの siRNA 薬への応用に取り組んでいる。

Access Pharmaceuticals Inc.は米国拠点の企業で、活性代謝物がナノキャリアのNC-4016 と同様に DACH プラチンであるプロリンダク（Prolindac、2010 年の初めに米国で第 II 相）を開発した。プロリンダクの場合、活性剤が HPMA（ヒドロキシプロピルメタアクリルアミド）共重合体の幹と結合している。

Supratek Pharma Inc.は、カナダのモントリオールに拠点を置く企業である。「プルロニックブロック共重合体」と呼ばれる技術を開発し、ドキソルビシン系の DDS 薬剤であるSP1049C を開発した。2005 年から第 II 相臨床試験が英国で進行中とみられる。

代替品

同様の薬効をもつ既存薬、新薬が代替となる。医薬品発売後一定の年数が経過し特許期限切れになると、ジェネリックが強力な代替品となる。市販ジェネリックと比べ薬効に大きな優位性がない限り新薬に要求される薬効のハードルは高くなり、相対的にコストが高い新薬がジェネリックより高い売上水準を達成できるとは考えにくい。

別の抗がん技術が成功を収めれば代替となり得るが、そのような技術は既存薬の代替ではなく、既存薬と併用される可能性が高いだろう。そのような技術の例として、がん細胞内に蓄積できるナノ粒子の開発に取り組むフランス企業、NanoBiotix 社がある。これらの粒子は不活性で、

薬物ではなく、それ自体は特定の作用を持たない。しかし、これらを X 線にあてることで遊離ラジカルおよび熱が放出され、がん細胞の活動を停止させる可能性を持つ。NanoBiotix 社製品は実験的非臨床段階にある。

経営戦略

同社は、高製造コストや資金的な制限といった制約があるため、特定領域に焦点を絞った戦略をとっている。自社の技術経験、特定分野の研究やライセンスの専門知識を生かし、比較的高い投資回収が見込まれる開発品目の実用化に的を絞っている。

同社は、効能はありながらも有効なキャリアおよびターゲティングシステムを欠くため制約を受けている既存の治療用化合物の研究を今後もさらに推進していくと見られる。具体的な新規の戦略的研究領域は以下の通り：

- タンパク質および酵素などを使った単剤での分子標的（「マーケット概略」の項も併せて参照）。
- 薬物の併用（カクテル）。抗がん剤は多くの場合、互いに組み合わせることでより優れた作用を発揮する。ただし、既存の多くの抗がん剤が引き起こす深刻な副作用のため、抗がん薬のカクテル治療を実用化することは非常に困難であることが分かっている。
- 非がん用途。

過去の財務諸表

前四半期以前の業績概況（参考）

2014 年 3 月期通期決算実績

2014 年 3 月期の売上高は、OEP 社からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入並びに治験薬供給収入 195 百万円（前期は 103 百万円）、興和株式会社からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入 100 百万円（前期は 233 百万円）、アルビオン社との共同開発契約に基づく化粧品材料供給収入 130 百万円等により、472 百万円（前期比 26.3%増）となった。

新規パイプライン探索活動強化と臨床治験の進捗に伴い、研究開発費は前期比 688 百万円増加し、926 百万円となった。その結果、営業損失は 1,123 百万円（2013 年 3 月期は営業損失 527 百万円）となった。

外国為替相場の変動による主に外貨建て預金の評価替えにより生じた為替差益 225 百万円、公募増資等に伴う株式交付費 211 百万円等により経常損失は 1,095 百万円（同経常損失 432 百万円）、当期純損失は 1,114 百万円（同当期純損失 484 百万円）であった。

同社によれば主要パイプラインの進捗状況は以下の通りであった。

主要パイプラインの現況
パクリタキセルミセル（NK105）
日本を含むアジア地域を対象としたライセンス先である日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が転移・再発乳がんを適用対象にした第Ⅲ相臨床試験（国際共同試験）を 2012 年 7 月から開始し、順調に進捗している。

シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004 ナノプラチン®）
アジア地域（日本、中国、インドを除き、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先である Orient Europharma Co., Ltd.とともに、台湾、香港およびシンガポールで転移性及び進行性膵臓がんに対する第Ⅲ相臨床試験の治験届を行い、台湾においては投与を開始し、香港、シンガポールでも、治験届の承認を経て患者登録を開始した。また、OEP 社との間で中国本土及び韓国を第Ⅲ相臨床試験に追加することを決定し、韓国では治験届を行い、中国では治験届の準備を行っている。

日本・米国においては、自社開発による臨床試験を進めており、日本においては固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験が 2012 年 10 月から進捗中であり、米国については、肺がん（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験（第Ⅰ相 b/第Ⅱ相）の治験届が承認され、米国テキサス大学 MD アンダーソンがんセンターを含め複数の施設で患者登録及び投与を開始した。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）
固形がんを対象に米国における第 I 相臨床試験を開始しており、2013 年 12 月より米国テキサス大学 MD アンダーソンがんセンターにおいて患者への投与が開始されている。

エピルビシンミセル（NC-6300）
全世界を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している興和社と共同開発を進め、日本国内における第 I 相臨床試験が実施中で、2013 年 9 月から患者への投与が開始され、順調に進捗している。

新規開発パイプライン
抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させ、より選択性を高めたターゲティングを行うシステム ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle）の開発を進め、新規低分子医薬品に加え、新規 siRNA などの核酸やタンパク質など高分子医薬品を安定化した NanoFect®システムなどの次世代医薬品候補の開発を行うために自社研究及び内外の製薬・バイオ企業や研究機関等との共同研究を進めている。

事業開発等の状況
事業開発活動については、2013 年 6 月に、同社の中核技術であるミセル化ナノ粒子の材料であるブロックコポリマーに関し、信越化学工業株式会社と共同研究契約を締結し、両社の技術を生かし、良質なブロックコポリマーの量産技術を確立することを目指した共同研究を開始した。

その他
2012 年 7 月に締結したアルビオン社との共同開発契約に基づき、新たな化粧品（美容液）材料の開発を進め、2013 年 10 月から販売が開始された。また、2013 年 9 月に新たにアルビオン社と締結した共同開発契約に基づき、化粧品新分野での事業化に向け共同開発を進めている。

資金調達
2013 年 10 月に実施した公募（国内一般募集及び海外募集）による新株式発行により、8,651 百万円、同 11 月に実施したオーバーアロットメントによる第三者割当により、418 百万円を調達し、総額 9,069 百万円を調達した。その他、新株予約権の行使請求に伴う 24,270 株の新株発行により、727 百万円を調達した。

2013 年 3 月期通期決算実績

2013 年 3 月期の売上高は、興和株式会社への製剤供給に伴う収入やマイルストーン収入、Orient Europharma Co., Ltd.（台湾）からの契約一時金収入等により 373 百万円（前年比 7.9%増）となった。一方、研究開発費等により、営業損失は 526 百万円（2012 年 3 月期は

営業損失333百万円）となった。経常損失は432百万円（同経常損失366百万円）、当期純損失は484百万円（同当期純損失398百万円）であった。

売上高は下記Orient Europharma Co., Ltd.との間で締結した新契約にによって、当初予想の242百万円を上回った。また、シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004ナノプラチン®）の日本国内における第I相臨床試験、米国における拡大臨床試験の開始が当初計画より遅れたこともあり、研究開発費は当初計画の1,035百万円を下回り、237百万円に留まった。同社は臨床試験の遅延について、一部戦略的意思決定（実施地域の変更、適応症の変更等）に基づくものも含まれるとしている。

同社は、2012年11月にOrient Europharma Co., Ltd.との間で、シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004ナノプラチン®）に関するアジア地域（日本、インド、中国以外のアジア、オセアニアを含む）を対象とする開発及び販売権に加え、全世界を対象とする非独占製造権を付与する新たなライセンス契約を締結した。また、同月、信越化学社を割当先とする新株式発行（12,000株）を含む資金調達を行うとともに、ミセル化ナノ粒子技術の中核である原材料ポリマーの研究開発について、信越化学社と協力的な関係構築に向けて検討を開始した。

なお、信越化学社は、株式会社ウィズ・パートナーズが無限責任組合員として組成する投資事業有限責任組合より、同社株式12,000株の譲渡を受けた。そのため、第三者割当で取得した株式数と合わせた同社株式保有数は24,000株となり、2013年3月末時点で同社の筆頭株主となった。

同社によれば主要パイプラインの進捗状況は以下の通りであった。

主要パイプラインの現況
パクリタキセルミセル（NK105）
アジア領域を対象としたライセンス先の日本化薬株式会社（東証1部4272）によって、2012年7月に転移・再発乳がんを適用対象にした第III相臨床試験（国際共同試験）が開始され、進捗している。

シスプラチン誘導体ミセル（NC-6004ナノプラチン®）
アジア地域（日本、インド、中国以外のアジア、オセアニアを含む）を対象としたライセンス先であるOrient Europharma Co., Ltd.とともに、進行性膵臓がんを対象とした第II相臨床試験を台湾およびシンガポールで実施中である。2013年前半には承認要件を満たす拡大臨床試験に移行する予定であるという。日本国内においても固形がんを対象に2012年10月に第I相臨床試験を開始した。また、グローバル展開を計画しており、米国においても2013年中に肺ガン（非小細胞肺がん）を対象とする拡大臨床試験を開始するための準備を進めているとしている。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）

米国における第 I 相臨床試験実施の早期再開に向け、準備を進めているとのことだ（実施施設はテキサス州立大学 MD アンダーソンがんセンター（The University of Texas MD Anderson Cancer Center））。

エピルビシンミセル（NC-6300）

全世界を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している興和社と非臨床試験の実施及び治験薬の製造等を進めてきたが、2013 年 5 月初旬に第 I 相臨床試験実施のための IND 申請を医薬品医療機器総合機構（PMDA）におこなった。

新規パイプラインの進捗状況

低分子医薬品に加え、タンパク質、核酸など高分子医薬品などを対象に、エーザイ株式会社（東証 1 部 4523）、東京大学をはじめ、国内外の研究機関や製薬企業と共同研究やフィージビリティスタディを実施し、ドセタキセルや分子標的薬ベルケイド®（ボルテゾミブ）のミセル化医薬品開発やセンサー結合型ミセルについて自社研究を進めているとしている。

2012 年 3 月期通期決算実績

2012 年 3 月期の売上高は、興和株式会社からのライセンス及び共同開発契約締結に伴う契約一時金収入等により 346 百万円（前年比 310.7%増）となった。一方、研究開発費等により、営業損失は 334 百万円（2011 年 3 月期は営業損失 520 百万円）となった。経常損失は 366 百万円（2011 年 3 月期は経常損失 550 百万円）、当期純損失は 398 百万円（2011 年 3 月期は当期純損失 555 百万円）であった。

主要パイプラインの現況

パクリタキセルミセル（NK105）

アジア領域を対象としたライセンス先の日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）が、国内で乳がん等を対象に臨床試験を進めている。日本化薬社は早ければ 2012 年中にも第 III 相臨床試験を開始するよう尽力中とのことだ。

ナノプラチン®（NC-6004）

一部アジア領域（日本、インド、中国以外のアジア）を対象としたライセンス及び共同開発契約を締結している Orient Europharma Co., Ltd.とともに、膵臓がんを対象とした第 I 相/第 II 相臨床試験を台湾およびシンガポールで実施中。2011 年 7 月に有効性及び安全性を検証するための第 II 相臨床試験パートに入った。患者登録を含め同試験は順調に進んでいる模様。また、日本国内における臨床試験についても、年内の申請・試験実施に向けて準備が進められているようだ。

ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）

第 I 相臨床試験実施の準備および第 II 相臨床試験実施に向けて計画策定を行っているとのことだ。また、国内外での新たな提携先との交渉にも尽力中であるとしている。

エピルビシンミセル（NC-6300）

2011 年 9 月に興和社との間でライセンス及び共同開発に関する契約を締結し、新たに主要パイプラインに加わった。興和社とは共同開発体制を構築し、前臨床試験を進めており、2013 年の第 I 相臨床試験開始に向け準備を進めている模様である。

新規開発パイプラインの現況

その他の新規開発パイプラインについては、自社での研究開発を進める一方、低分子化合物だけでなく、siRNA やタンパク質など高分子化合物にも適用対象を拡大し、京都大学との核酸医薬に関する共同研究を始め、東京大学や国立がん研究センター病院など国内外の研究機関や製薬企業と、低分子化合物だけでなく、siRNA、タンパク質など高分子化合物をも対象とする共同研究やフィージビリティスタディを実施しているとのことである。

その他契約

2011 年 9 月には興和社とエピルビシンミセル（NC-6300）についてライセンス及び共同開発に関する契約を締結した。

また、2012 年 3 月にはエーザイ株式会社（東証 1 部 4523）と共同研究契約を締結し、同社の基盤技術であるミセル化ナノ粒子技術を用いて、エーザイ社所有の薬物に適応させ、開発可能性を検証する取り組みを開始した。

資金調達とその目的

2012 年 3 月に株式会社ウィズ・パートナーズが運営するファンドから、1,700 百万円の転換社債型新株予約権付社債及び行使された場合には最大で 2,025 百万円が払い込まれる新株予約権の発行により、大規模な資金調達を実施した。

同社は、バイオベンチャーであり、研究開発投資が売上に先行して必要となる。そのため、これまでもこの開発のための資金を補う目的で、小規模の増資、パイプラインの早期ライセンスなどを行ってきた。しかし、早期ライセンスは、開発資金を最小限に留めるというメリットがある反面、臨床開発の推進を提携先に依存することになるため、最短で製品の承認や上市を実現するという同社の目標と提携先の意向が必ずしも一致するとは限らない。また、（開発初期または早期の段階で製品を他社へライセンスすることは）契約の交渉上、正当な評価が得られず、同社が期待するようなマイルストーン収入・収益を実現できない可能性もある。

上記課題を解決するため、第三者割当増資を行い、二つのパイプライン（ナノプラチン®（NC-6004）、ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016））について自社開発を加速化する方針

に転換したとのことである。同社は、ナノプラチン®（NC-6004）については、第 III 相臨床試験を経て上市後には大型新薬としての売上を期待しており、今回の増資における資金使途の大部分を振り向けるとしている。

ウィズ・パートナーズ社より、2012 年 3 月に社外取締役 2 人、4 月にアドバイザー1 名が就任した。同社は、ライフサイエンス分野での経験と幅広い人脈を有する社外取締役及びアドバイザーに製薬企業との提携など事業及び経営面でのサポートをしてもらうことよって、経営にもプラスの相乗効果が生まれることを期待していると述べている。

また、2011 年 9 月には興和社との共同開発契約の締結と同時に、興和社に対して第三者割当増資による新株発行を実施、290 百万円を調達した。

損益計算書

損益計算書 (百万円)	07年3月期	08年3月期	09年3月期	10年3月期	11年3月期	12年3月期	13年3月期	14年3月期	15年3月期
売上高	**103**	**263**	**354**	**118**	**84**	**346**	**374**	**472**	**676**
前年比	-4.1%	154.0%	34.6%	-66.7%	-28.4%	310.7%	7.9%	26.3%	43.1%
売上原価	92	68	247	71	51	125	273	182	212
売上総利益	**12**	**194**	**106**	**47**	**33**	**221**	**101**	**290**	**464**
売上総利益率	11.3%	74.0%	30.1%	39.8%	39.4%	63.9%	27.0%	61.4%	68.7%
販売費及び一般管理費	729	647	638	540	553	555	628	1,413	1,572
売上高販管費比率	704.8%	246.2%	180.4%	458.0%	655.9%	160.2%	167.9%	299.2%	232.6%
営業利益	**-717**	**-453**	**-532**	**-493**	**-520**	**-334**	**-527**	**-1123**	**-1108**
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-
営業外収益	3	7	9	4	1	2	106	244	948
営業外費用	13	46	1	4	31	35	12	215	11
経常利益	**-727**	**-492**	**-524**	**-492**	**-550**	**-366**	**-432**	**-1095**	**-171**
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-
経常利益率	-	-	-	-	-	-	-	-	-
特別利益	0	0	2	0	0	0.0	0.5	-	**0**
特別損失	0	0	0	0	-550	31.0	50.4	16.2	34.4
税引前利益	**-728**	**-492**	**-522**	**-492**	**-553**	**396**	**-482**	**-1,111**	**-206**
法人税等	2	2	2	2	2	2	2	2	2
当期利益	**-729**	**-494**	**-524**	**-495**	**-555**	**-398**	**-484**	**-1114**	**-207**
前年比	-	-	-	-	-	-	-	-	-

出所：会社データよりSR社作成
*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

2010年3月期、Debiopharm社からの収入は55百万円（売上高の47%）。 一丸ファルコス株式会社からの収入は14百万円（同11%）。28百万円は他の2社からの収入だった（社名は公表されていない）。

2009年3月期、Debiopharm社からの収入は229百万円（売上高の65%）。Orient Europharma社からの収入は119百万円であった（同33.6%）。

2008年3月期、Debiopharm社からの収入は148百万円（売上高の56%）。また、日本化薬社からNK105関連の101万円（同38%）のマイルストーン収入があった。

2007年3月期、売上高はDebiopharm社から27百万円（売上高の26%）、キリンファーマ株式会社から29百万円（同28%）、エーザイ社から27百万円（同26%）であった。

貸借対照表

貸借対照表　（百万円）	07年3月期	08年3月期	09年3月期	10年3月期	11年3月期	12年3月期	13年3月期	14年3月期	15年3月期
現金及び預金、有価証券	1,718	1,755	1,369	1,006	1,872	2,981	5,155	7,247	13,772
売掛金及び受取手形	4	0	43	6	6	1	5	27	237
たな卸資産	43	121	11	22	60	99	181	203	51
その他	142	79	26	31	43	31	132	112	150
流動資産	**1,906**	**1,955**	**1,450**	**1,066**	**1,981**	**3,112**	**5,473**	**7,589**	**14,209**
有形固定資産	24	32	29	24	19	38	19	39	169
無形固定資産	50	45	38	35	27	2	0	2	6
投資その他の資産合計	11	12	12	11	11	510	114	6,710	319
固定資産	**85**	**89**	**80**	**70**	**57**	**550**	**133**	**6,752**	**495**
資産合計	**1,992**	**2,044**	**1,529**	**1,135**	**2,038**	**3,663**	**5,606**	**14,341**	**14,704**
買掛金	7	4	9	11	2	5	50	40	17
短期有利子負債	-	-	-	-	-	-	-	-	-
その他	226	133	63	110	188	99	99	163	156
流動負債	**233**	**136**	**71**	**121**	**189**	**104**	**149**	**203**	**173**
長期有利子負債	-	-	-	-	-	1,700	1,040	540	-
その他	-	-	-	-	-	104	16	1	29
固定負債	**-**	**-**	**-**	**-**	**-**	**1,804**	**1,056**	**541**	**29**
負債合計	**233**	**136**	**71**	**121**	**189**	**1,804**	**1,205**	**744**	**202**
株主資本	**1,759**	**1,908**	**1,458**	**1,012**	**1,848**	**1,829**	**4,353**	**13,563**	**14,407**
評価・換算差額等	0	0	-	3	1	30	48	34	95
純資産	**1,759**	**1,908**	**1,458**	**1,014**	**1,849**	**1,859**	**4,401**	**13,597**	**14,502**
負債純資産合計	**1,992**	**2,044**	**1,529**	**1,135**	**2,038**	**3,663**	**5,606**	**14,341**	**14,704**
運転資金	40	118	46	17	65	95	136	190	271
有利子負債合計	-	-	-	-	-	1,700	1,040	540	-
ネット・デット	-1,718	-1,755	-1,369	-1,006	-1,872	-1,281	-4,115	-6,707	-13,772

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

資産

2015年3月期の資産のうち、94%を現金及び現金同等物（現金及び預金、有価証券）が占める。これらの資産の増加は、2011年3月期以降の資金調達の活発化によるものである（「株主資本」の項参照）。

負債

2007年3月期から2011年3月期の有利子負債はゼロであった。2012年3月期には、転換社債型新株予約権付社債の発行によって1,700百万円の有利子負債が発生した。新株予約権の行使により当該有利子負債は2014年3月期に540百万円に、2015年3月期にゼロに減少した。

株主資本

同社は2008年3月期の新規株式公開（IPO）による調達などを含む多様なエクイティファイナンスを行っており、新株予約権も発行している。

2008 年以降の主な資金調達

年月	調達方法	発行済株式総数増減	株主資本増減額
2008 年 9 月	有償第三者割当 （Cyntec Co., Ltd.）	4,116 株	75 百万円
2010 年 6 月	有償第三者割当 （株式会社メディネット）	4,819 株	100 百万円
2010 年 12 月	有償株主割当	68,987 株	690 百万円
2011 年 1～3 月	新株予約権の行使	18,500 株	601 百万円
2011 年 4～6 月	新株予約権の行使	3,000 株	87 百万円
2011 年 10 月	有償第三者割当 （興和株式会社）	11,000 株	290 百万円
2011 年 1～11 月	新株予約権の行使	14,170 株	429 百万円
2012 年 11 月	有償第三者割当 （信越化学工業株式会社）	12,000 株	690 百万円
2012 年 11 月～2013 年 3 月	新株予約権の行使	64,252 株	1,891 百万円
2013 年 10 月	有償一般募集 （グローバルオファリング）	33,600 株	8,651 百万円
2013 年 11 月	有償第三者割当 （J.P. Morgan Securities plc）	1,625 株	418 百万円

出所：同社資料

潜在希薄化

同社は、ストック・オプション制度を採用しており、2014 年 3 月末でストック・オプションとして発行した新株予約権は 2,285 株相当である。

また、資金調達のために新株予約権を発行しており、第 2 回転換社債型新株予約権付社債に付された新株予約権 19,278 株相当がある。

上記全ての新株予約権が全て行使された場合の潜在株式数は 21,563 株であり、2014 年 3 月末の発行済株式数 402,652 株に対して、合計 5.08%の希薄化率となる。

キャッシュフロー

キャッシュフロー計算書（百万円）	07年3月期	08年3月期	09年3月期	10年3月期	11年3月期	12年3月期	13年3月期	14年3月期	15年3月期
営業活動によるCF (A)	-663	-588	-457	-452	-578	-293	-635	-1,098	-1,121
投資活動によるCF (B)	-62	-19	-4	-8	-5	-1,721	-121	-7,059	-2,562
FCF (A+B)	-725	-607	-461	-460	-582	-2,015	-757	-8,158	-3,683
財務活動によるCF	1,143	643	75	97	1,449	1,924	2,327	9,581	505
減価償却費（A）	8	15	16	16	16	18	7	5	19
設備投資（B）	-11	-14	-3	-2	-4	-19	-20	-27	-166
運転資本増減（C）	-6	78	-71	-29	48	30	41	54	81
単純FCF（純利益+A+B-C）	-727	-571	-440	-452	-590	-429	-538	-1,189	-436

出所：会社データよりSR社作成

*表の数値が会社資料とは異なる場合があるが、四捨五入により生じた相違であることに留意。

営業活動によるキャッシュフロー

営業活動によるキャッシュフローのマイナスが継続している理由は、同社の技術が初期段階にあることを反映したものである（2015年3月期時点で、同社製品はまだ上市に至っておらず、研究開発費、人件費など販売管理費の大半は固定費である）。

投資活動によるキャッシュフロー

2006年3月期から2013年3月期の投資活動によるキャッシュフローは僅少に留まっている。2012年3月期、2014年3月期、2015年3月期は主に定期預金の預入による支出によって、投資活動によるキャッシュフローがマイナスとなっている。

財務活動によるキャッシュフロー

- 2007年3月期および2008年3月期における財務活動によるキャッシュフローは主に株式発行（それぞれ第3者割当増資とIPO）によるものであった。
- 2011年3月期は、第三者割当増資、株主割当増資および新株予約権行使請求に伴う新株式発行によって財務活動によるキャッシュフローが生じている。
- 2012年3月期は、第三者割当増資および新株予約権行使請求に伴う新株式発行、第三者割当による転換社債型新株予約権付社債及び新株予約権の発行等によって財務活動によるキャッシュフローが生じている。
- 2013年3月期は、第三者割当増資及び新株予約権の行使請求に伴う新株式発行等により財務活動によるキャッシュフローが増加した。
- 2014年3月期は、公募（国内一般募集及び海外募集）による新株式発行、オーバーアロットメントによる第三者割当による総額9,069百万円の資金調達により、財務活動によるキャッシュフローがプラスとなった。

単純フリーキャッシュフロー

2007年3月期から2015年3月期の同社の単純フリーキャッシュフローのマイナスは、同社が成長初期段階にあり、同社の製品が依然として投資・開発段階にあることが要因である。

その他情報

沿革

同社設立のきっかけは、ミセル化ナノ粒子技術の学術研究に端を発する。東京大学の片岡教授（「トップ経営者」の項を参照）、東京女子医科大学の岡野教授（「トップ経営者」の項を参照）らが、ミセル化ナノ粒子技術の医学的な応用を目標に研究を重ねた（「用語集」を参照）結果、ミセル化ナノ粒子を静脈投与した場合、血中に薬物が長時間循環し、薬物の効果が持続するキャリア（担体）となり得ることを見出した。

バイオベンチャー企業経営の経験を持つ現代表取締役社長 CEO の中冨一郎氏が、教授らと共に、その研究成果を事業化するために起業したのが、ナノキャリアである。

年表
1996 年 6 月: ミセル化ナノ粒子を医薬品開発に応用・実用化することを目的として、ナノキャリア株式会社を設立

1997 年 8 月: 日本油脂株式会社（現:日油株式会社（東証 1 部 4403））と、新規ブロックコポリマーの共同開発契約を締結

2001 年 1 月: 株式会社先端科学技術インキュベーションセンター（現:株式会社東京大学 TLO）と「シスプラチン内包高分子ミセル」に関する実施許諾契約書を締結

2002 年 6 月: 日本化薬株式会社（東証 1 部 4272）とパクリタキセルミセルに関する実施許諾基本契約を締結

2002 年 11 月: 同社のミセル化ナノ粒子技術とキリンビール株式会社（現：協和発酵キリン株式会社）のヒト抗体技術を融合し、抗体結合型ミセルによる抗がん剤（NC-4010）開発のための共同研究契約書を締結

2004 年 5 月: 国内においてライセンスアウト先の日本化薬株式会社がパクリタキセルミセル（NK105）の第 I 相臨床試験を開始

2004 年 5 月: 国立大学法人東京大学および株式会社東京大学 TLO と「ダハプラチン含有ブロック共重合体抗腫瘍剤」に関する実施許諾契約書を締結

2005 年 3 月: Debiopharm S.A.（スイス）とミセル化ナノ粒子技術によるダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）に関する共同研究およびオプション契約を締結

2006 年 5 月: 英国においてシスプラチン誘導体ミセルであるナノプラチン®（NC-6004）の

第 I 相臨床試験を開始

2006 年 6 月: キリンビール株式会社（現 協和発酵キリン株式会社）と抗体結合型ミセルによる新規抗がん剤（NC-4010）開発のための新規共同研究契約書を締結

2006 年 7 月: 国立大学法人東京大学および株式会社東京大学 TLO と「静電結合型高分子ミセル薬物担体とその薬剤」に関する独占ライセンス契約を締結

2007 年 2 月: 国立大学法人東京大学および株式会社東京大学 TLO と「pH 応答性高分子ミセルの調製に用いる新規ブロック共重合体及びその製造法」に関する独占ライセンス契約を締結

2007 年 10 月: Debiopharm S.A.とダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）に関するライセンスおよび製剤供給に関する契約を締結

2007 年 11 月: 日本化薬株式会社がパクリタキセルミセル（NK105）の第 II 相臨床試験（胃がん対象）を開始

2008 年 3 月: 東京証券取引所マザーズ市場に上場

2008 年 4 月: 株式会社東京大学 TLO と核酸用ミセルに関する独占ライセンス契約を締結

2008 年 9 月: 台湾の Orient Europharma Co., Ltd.とナノプラチン®（NC-6004）のライセンスおよび共同開発契約を締結

2008 年 12 月: ナノプラチン®（NC-6004）第 I/II 相臨床試験開始申請承認（台湾）

2008 年 12 月: Debiopharm S.A.が欧州においてダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の第 I 相臨床試験開始申請承認

2009 年 5 月: 国立大学法人東京大学および株式会社東京大学 TLO とカチオン性ポリアミノ酸に関する独占ライセンス契約を締結

2009 年 11 月: 同社はニュースリリースで、ドセタキセルミセルの開発成功（抗がん剤ドセタキセルを継続的に徐放するミセル）を発表

2009 年 12 月: 同社は遺伝子治療分野で、東京大学および株式会社東京大学 TLO とライセンス契約を締結したと発表

2010 年 8 月: 国内において、ライセンスアウト先の日本化薬株式会社がパクリタキセルミセ

ル(NK105)の第 I 相臨床試験（乳がん対象）開始

2010 年 10 月: LFB Biotechnologies 社と、タンパク質 rhFVIIa（第 VII 因子）のミセル化製剤のライセンスを視野に入れたオプション契約を締結

2011 年 3 月: Debiopharm S.A.と LICENSE AND SUPPLY AGREEMENT の終結に伴う Termination Agreement を締結

2011 年 7 月: LFB 社と共同研究契約を締結

2011 年 7 月: ナノプラチン®（NC-6004）の第 II 相臨床試験を開始

2011 年 8 月: 京都大学と核酸医薬に関する共同研究契約を締結

2011 年 9 月: 興和株式会社とのエピルビシンミセル（NC-6300）のグローバルでのライセンス及び共同開発契約の締結、興和社に対する第三者割当による新株発行を実施

2012 年 3 月: 株式会社ウィズ・パートナーズが運営するファンドより自社開発加速化のための大規模資金調達を実施

2012 年 3 月: エーザイ株式会社（東証 1 部 4523）と共同研究契約を締結

2012 年 7 月: アルビオン社と化粧品素材の開発及び商業化に関する契約締結

2012 年 10 月: 国内において NC-6004 の第 I 相臨床試験開始。信越化学工業株式会社と第 3 者割当増資に関する契約締結

2012 年 10 月: Orient Europharma Co., Ltd.と NC-6004 の製造権に関するライセンス契約締結

2013 年 5 月: 興和株式会社が NC-6300（K-912）の国内第 I 相臨床試験に関する治験計画届出書を提出

2013 年 5 月: ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の米国第 I 相試験に関する治験計画届出書を提出

2013 年 6 月: ナノプラチン®（NC-6004）の米国第 Ib/Ⅱ相試験（非小細胞肺がん）に関する治験計画届出書を提出

2013 年 6 月: Orient Europharma Co., Ltd.がナノプラチン®（NC-6004）のアジア第Ⅲ相試験（膵がん）に関する治験計画届出書を提出

2013 年 9 月: エピルビシンミセル（NC-6300/K-912 : pH 応答性ミセル）の日本国内における第Ⅰ相臨床試験開始

2013 年 10 月: 共同開発品の新生アルビオン「エクラフチュール」発売

2013 年 12 月: ダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）の米国における第Ⅰ相臨床試験開始

2014 年 2 月: ナノプラチン®（NC-6004）のアジア地域における第Ⅲ相臨床試験開始

2014 年 6 月: エーザイ株式会社との間で新規医薬品候補品に関するライセンス契約を締結

ニュース&トピックス

2015 年 4 月

2015 年 4 月 3 日、同社は、2015 年 3 月期通期業績予想の修正及び営業外収益及び特別損失の計上、並びに 2016 年 3 月期業績予想について発表した。

2015 年 3 月期通期業績予想修正

- 売上高：675百万円（前回予想673百万円）
- 営業損失：1,129百万円（同1,127百万円）
- 経常損失：189百万円（同285百万円）
- 当期純損失：227百万円（同322百万円）

修正の理由
売上高及び営業利益については、前回発表の業績予想を概ね達成する見込みである。 経常利益及び当期純利益については、外貨建て預金にかかる為替差益が想定より増加したため、前回発表の業績予想を上回る見込みとなった。前回発表の際の為替レートの想定は 1 ドル 118 円であったが、その後ドル高/円安が進行し、事業年度末の実際の為替レートは 1 ドル 120.17 円となった。

営業外収益（為替差益及び受取利息）の計上
同社は、2015 年 3 月期第 3 四半期累計期間（2014 年 4 月～12 月）において、為替差益 939 百万円を営業外収益に計上していたが、第 4 四半期（2015 年 1 月～3 月）では、外国為替相場の変動による為替差損 20 百万円が発生したため、2015 年 3 月期通期においては 919 百

万円の為替差益を営業外収益に計上した。これは、同社の保有する主に外貨建て預金の評価替えにより発生したものである。また、同社は、受取利息 33 百万円（主に外貨建て定期預金にかかる利息）を営業外収益に計上した。

特別損失（固定資産の減損損失）の内容
固定資産減損損失 33 百万円は、2015 年 3 月期末における研究用分析機器等の減損処理によるものである。

2016 年 3 月期業績予想

2016 年 3 月期通期業績予想（百万円）

	売上高	営業利益	経常利益	当期利益
2016 年 3 月期（予想）	137	-2,666	-2,617	-2,772
2015 年 3 月期（予想）	675	-1,129	-189	-227

出所：同社資料

同社リリース文によれば、2016 年 3 月期は、同社が現在国内外で進めている臨床試験の将来における申請及び承認を視野に入れた、より拡大した適応症における臨床開発投資を行う年であり、また新規パイプラインに対する研究開発投資が本格的に立ち上がる年でもある。従って、2016 年 3 月期の臨床開発費用や新規パイプライン開発費用などの研究開発費用は、2015 年 3 月期から大幅に増加することが予想される。しかしながら、同社は、このタイミングにおけるこれらの重点的な投資は、中長期的には同社の企業価値の極大化に繋がるものと判断している。

より具体的には、主要パイプラインの自社開発による臨床試験の拡大展開、新規パイプラインとして開発を進めている抗体/薬物結合型ミセル(ADCM: Antibody/Drug Conjugated Micelle)を用いた次世代型医薬品開発の推進、siRNA などの核酸医薬品に対して適用できるミセル化ナノ粒子技術 Active 型 NanoFect® の開発加速化等に伴い、研究開発費用が増加することによる。

各プロジェクトに関しては以下の通りである。

ナノプラチン® (NC-6004)は、アジア地域を対象としたライセンス先である Orient Europharma Co., Ltd.(台湾)と共同で膵がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験を実施しているが、今後は地域の拡大及び頭頸部がんの追加適応症を検討している。また米国における自社開発においても、現在実施している非小細胞肺がんを対象とする第Ⅰb/Ⅱ相試験に加え、頭頸部がんを含む数種の適応症を対象とした第 I/Ⅱ相試験あるいは第Ⅱ相試験を拡大し、早期承認を目指すために戦略的に臨床試験を展開していく予定である。従来の臨床試験に加えて新たな適応症を追加することにより、適応症の選択性を拡大し、早期承認の可能性が高いと判断される適応症に絞り込んで臨床試験を推進することにより、治験期間の短縮と承認確率の向上を目指す。

ダハプラチンミセル(NC-4016)についても、現在米国で固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験を自社で進めているが、今後は早期承認の可能性が高い適応症の第Ⅰ/Ⅱ相試験を追加し、承認取得を目指す。

エピルビシンミセル(NC-6300/K-912)については、全世界を対象にしたライセンス先である興和株式会社と共同で、日本において固形がんを対象にした第Ⅰ相臨床試験を実施しているが、今後は適応症追加も考慮しながら、乳がんの適応症に対する第Ⅰ/Ⅱ相試験を推進していく。

新規パイプラインについての研究開発は、エーザイ株式会社（東証1部 4523）より導入した E7974 に対する次世代型 ADCM 技術の適用により、癌細胞へのターゲティング性能を高め、毒性を軽減することで治療域毒性を軽減することで治療域を拡大する新規医薬品の開発を進めており、ヒトでの臨床試験開始に向けて準備を進めている。 また、中外製薬株式会社と共同で、同社の核酸デリバリー技術（Active 型 NanoFect®）を基に、これまでにないファーストインクラスの siRNA 医薬品開発を目指し、共同研究開発を推進する。

また、2016 年 3 月期の売上高については、主に株式会社アルビオンが販売する化粧品等の原材料の販売収入 137 百万円を見込んでおり、治験薬の販売収入、共同研究や事業提携の成果に伴う一時金等の収入は見込んでいない。しかしながら、今後の臨床試験の進捗や新たな共同研究契約締結・事業提携等の事業開発活動の成果により売上高に変動が見込まれる場合、適時に開示を行っていく。

さらに、化粧品事業については、新たな美容液や育毛剤などの商品化を進めていく。この新製品の開発の進捗に応じて売上高に変動が見込まれる場合についても、適時に開示を行っていくとしている。

2015 年 3 月

2015 年 3 月 19 日、同社は核酸デリバリー技術に関する物質特許の中国における特許査定に関して発表した。

同社発表資料によれば、核酸医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、中国特許庁から特許査定を受けた。これにより、次世代型プラットフォーム技術としての物質特許を日本に加え、中国においても確保できることになったという。

同社は、体内ですぐに壊れてしまう siRNA などをキャリア内に封入することで安定化、細胞内へ確実に導入して活性を発揮する 3 つのシステム「NanoFect®」を確立したが、当該特許は、NanoFect®のシステム A に基づく独占権の範囲をさらに拡張するものであるという。なお、当該特許査定による業績への影響はないという。

- 発明の名称：粒子組成物及びこれを有する医薬組成物
- 出願番号：201080038549.X
- 特許権者：同社

2015 年 2 月

2015 年 2 月 24 日、同社は 2015 年 3 月期通期業績予想の修正を発表した。

2015 年 3 月期通期業績予想
- 売上高：673百万円（前回予想560百万円）
- 営業損失：1,127百万円（同1,428百万円）
- 経常損失：285百万円（同1,029百万円）
- 当期純損失：322百万円（同1,070百万円）

修正の理由
売上高については、契約一時金収入の増加（以下、同日発表のリリース参照）、及び化粧品原料の売上増が見込まれること等の要因により、前回発表の業績予想を上回る見込みとなった。また、開発パイプラインの臨床試験並びに次世代型医薬品の研究開発は予定通り進捗しているが、研究開発費用並びに販売費及び一般管理費については、臨床開発費用や移転関連費用などを保守的に見積もっていたため、実際の支出額は当初想定額を下回る見込みとなり、売上高の増加等による売上総利益の増加と相まって、営業損失は前回発表の業績予想より改善する見込みとなった。

また、期初以降の外国為替相場（米ドル）の変動による主に外貨建て預金の評価替えにより、為替差益を営業外収益として計上することを見込んでいる。前回発表時の為替レートの想定は 1 米ドル 110 円としていたが、為替相場の動向を踏まえ、想定レートを 1 米ドル 118 円へ変更した結果、経常損失及び当期純損失も前回発表の業績予想より改善する見込みである。

同日、同社は中外製薬株式会社との共同研究契約締結、及び中外製薬社に対する第三者割当による新株式発行について発表した。

同社は、2015 月 2 月 24 日開催の取締役会において、中外製薬株式会社（以下、中外製薬社）との同社ドラッグデリバリーシステム（DDS）技術を応用した siRNA 医薬品の共同研究に関する契約（以下、当該共同研究契約）の締結、及び中外製薬社を割当予定先とする第三者割当による新株式の発行（以下、当該第三者割当）について決議した。

同社リリース文によれば、同社と中外製薬社との間で、中外製薬社が選択した siRNA 及び抗

体に同社の active 型 NanoFect®技術を応用して、ファースト・イン・クラスの新規 siRNA ミセルの開発を目指した共同研究を行うことに両社で合意し、当該共同研究契約を締結したとのことである。また今後、中外製薬社が同社の保有する特許等や当該共同研究における成果を利用して医薬品の開発及び事業化を行うことを希望する場合、優先的に同社から特許等の独占的実施の許諾を受けるオプション権を保有することも当該共同研究契約に含まれている。当該共同研究に要する費用については、両社が各々の分担業務にかかった部分を個別に負担し、同社は上記オプション権の付与の対価として一定額を受領する。

同社は、当該共同研究契約の締結により、2015 年 3 月期において中外製薬社より契約一時金（オプション権料）を受領する予定であるため通期業績予想を修正した。

中外製薬社に対する第三者割当による新株式発行について
払込期日：2015 年 3 月 12 日
発行新株式数:389,400 株
発行価額:1 株につき 1,284 円
調達資金の額:499,989,600 円
差引手取概算:494,989,600 円
募集又は割当方法（割当予定先）:第三者割当の方法により、中外製薬社に全株式を割り当てる。

調達する資金の使途：同社ドラッグデリバリーシステム（DDS）技術を応用した siRNA 医薬品の共同研究の研究開発費

2015 年 2 月 2 日、同社は、Antibody/Drug-conjugated Micelle に関する物質特許の日本における特許査定について発表した。

同社は、がん細胞や疾患部位を標的にしたセンサーを結合し、薬物を患部へ確実に、大量に送達することを目的とした Antibody/Drug-conjugated Micelle（ADCM）に関する物質特許について、日本国特許庁から特許査定を受けた。当該発明特許は、先行 ADCM 技術の改良版となる特許であり、ADCM 技術の知財ライフサイクルマネジメントとしても寄与するとしている。

同社リリース文によれば、ADCM は、アクティブターゲティング※を可能とする次世代型プラットフォーム技術で、世界的に開発が活発化している抗体医薬 ADC（Antibody Drug Conjugate：抗体薬物複合体）の課題を補う次世代型 DDS 技術である。ADCM は、ADC では利用できない抗体や薬剤についても選択の幅を拡大できることから、同社は、アクティブターゲティングの発展に貢献するものと期待している。同社では、ADCM を適応した新規抗がん剤の開発を進めており、ヒトでの臨床試験開始に向け、非臨床試験等の準備を進めている。ま

た、ADCM は抗体の性能を活かすことにより、がん以外の疾患領域への拡大も可能となる技術とのことである。

※アクティブターゲティング：標的細胞を狙った能動的なターゲティング療法。がん細胞など病変部位に現れる特異的な抗原を認識するセンサー（抗体など）を利用し、病変部位への送達選択性をより高める。患部への集積性を高めることで効果および安全性をさらに向上させることが期待される。

2015 年 1 月

2015 年 1 月 29 日、同社は pH 応答性ミセルに関する物質特許の中国における特許査定について発表した。

同社は、細胞内の pH 変化に応答して薬物を効果的に放出する機能を備えた pH 応答性ミセル製剤に関する物質出願特許について、中国特許庁から追加の特許査定を受けた。

同社によると、今回の特許査定は、中国で先行取得していた特許権の範囲をさらに拡大するものであり、現在の共同開発品の中国における類似品の出現をより広範に排除することが可能となり、事業独占性を高めることに寄与するとしている。

当該特許が関連する、興和株式会社（以下、興和社）と共同で開発を進めている NC-6300(K-912）エピルビシンミセルは、固形がんを対象に国内第 I 相臨床試験を実施中である。

また、当該特許は、NC-6300(K-912）のみならず、ミセルポリマーとの間で p H 応答性結合を形成し得る低分子医薬品全般に適用可能なプラットフォーム型の物質特許であり、新しい医薬品を創造する基本となる。

同社は、将来を見据えた新たな研究開発を進めており、pH 応答性などの薬物放出制御機能技術と次世代型 DDS 技術である ADCM（Antibody/Drug-conjugated Micelle）を融合し、価値ある医薬品の開発を目指している。

2014 年 12 月

2014 年 12 月 12 日、同社は化粧品事業部の創設を発表した。

同社は、2015 年 1 月 1 日付けで化粧品事業部を創設することを決定した。

同社がアルビオン社と共同で、医薬品技術と化粧品技術を融合した美容液エクラフチュールを 2013 年 10 月に発売開始した。その後も、同社はアルビオン社と化粧品分野での共同研究を

続け、美容液や育毛剤など新しい製品の事業化に合意し、その開発を目指し研究開発を続けている。

同社リリース文によれば、化粧品事業は着実に成果を挙げており、今後、同事業を拡大・発展させるためには化粧品を一つの事業部門として位置づけ、研究開発や事業の企画管理業務を独立させ、組織や人材面でも拡充していくことが必要と判断し、化粧品事業部の創設を決定した。これまでも化粧品分野で経験のある人材を確保し、少数精鋭で研究開発等を進めてきたが、独立した組織の創設を機に、医薬品開発と化粧品開発の利点を融合し、相乗効果の出る新しい商品開発を進め、業績拡大・向上への貢献を目指すという。

2014 年 11 月

2014 年 11 月 11 日、同社は 2015 年 3 月期通期業績予想の修正及び営業外収益（為替差益）の計上に関して発表した。

2015 年 3 月期通期業績予想
- 売上高：560百万円（前回予想330百万円）
- 営業損失：1,428百万円（同1,955百万円）
- 経常損失：1,029百万円（同1,929百万円）
- 当期純損失：1,070百万円（同1,970百万円）

修正の理由
売上高については、興和社とのライセンス及び共同開発契約に基づく治験薬供給収入、アルビオン社との共同開発契約に基づく化粧品材料供給及び契約収入等を見込んでいるが、OEP 社とアジアにおいて膵臓がんを対象に共同開発を進めている NC-6004（ナノプラチン®）での治験の進捗及び適用症の拡大（頭頸部癌）に対応した新たな治験薬の供給が見込まれること、またアルビオン社の化粧品（エクラフチュール）の販売が堅調に推移し、当初の想定よりも化粧品材料の供給の増加が見込まれること等の要因により、前回発表の業績予想を上回る見込みである。

また、最重要パイプラインの NC-6004 及び NC-4016 の米国及び日本国内における臨床試験並びに次世代医薬品候補パイプラインの拡充に向け、薬剤ターゲティングの選択性を高める ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle）や siRNA などの核酸医薬品のデリバリー技術である NanoFect™と ADCM を組み合わせた Active 型 NanoFect™ の研究開発は予定通り進捗しているが、研究開発費用並びに販売費及び一般管理費については、臨床開発費用や移転関連費用などを保守的に見積もっていたが、実際の支出額は当初想定額を下回る見込みとなり、また売上高の増加等による売上総利益の増加と相まって、営業損失は前回発表の業績予想より改善する見込みである。

加えて、期初以降の外国為替相場（米ドル）の変動による主に外貨建て預金の評価替えにより、為替差益を営業外収益として計上することを見込んでおり、その結果、経常損失及び当期純損失も前回発表の業績予想より改善する見込みである（米ドルの為替レートは 110 円を想定）。

営業外収益（為替差益）の計上
同社は、2015 年 3 月期第 1 四半期累計期間において、為替差損 84 百万円を営業外費用に計上したが、2015 年 3 月期第 2 四半期会計期間では、外国為替相場の変動による為替差益 431 百万円が発生したため、2015 年 3 月期第 2 四半期累計期間においては、346 百万円の為替差益を営業外収益に計上している。これは、同社の保有する主に外貨建て預金の評価替えにより発生したものである。

2014 年 8 月
2014 年 8 月 20 日、同社は、NC-6004 ナノプラチン®の世界主要マーケット国での権利化成功について発表した。

同社の最重要パイプラインの一つである NC-6004 ナノプラチン®（以下、NC-6004）に関する特許出願が、米国特許庁から特許査定を受けた。これにより、NC-6004 に関する特許を、日本、欧州、中国、台湾、オーストラリアに加えて、米国においても確保できることとなり、世界の主要マーケット国で権利化ができることとなった。

当該特許は、NC-6004 に関する特許期間を大幅に延長可能とする知財ライフサイクルマネジメントの一環として重要な地位を占めており、同社独占権確保を可能とする重要な特許の一つである。

2014 年 7 月
2014 年 7 月 16 日、同社は pH 応答性ミセルに関する物質特許が韓国にて特許査定を受けたと発表した。

同社発表資料によれば、細胞内の pH 変化に応答して薬物を効果的に放出する機能を備えた pH 応答性ミセル製剤に関する物質出願特許が、韓国特許庁から特許査定を受けた。これにより、当該物質特許を日本、米国、欧州、中国、オーストラリア、ニュージーランドに加えて韓国においても確保できることになり、アジア・オセアニア地域の主要マーケット国にて当該特許に基づく事業独占権を獲得できることになったという。

当該特許は、興和株式会社と共同で 2013 年 9月より国内第 I 相臨床試験を進めている NC-6300(K -912) エピルビシンミセルについてのみならず、ミセルポリマーとの間で pH 応答性結合を形成し得る低分子医薬品全般に適用可能なプラットフォーム型の物質特許である。

さらに、当該特許は、同社が開発を進めている次世代型 DDS 技術である ADCM（Antibody/Drug-conjugated Micelles）に pH 応答性能を搭載・付加する場合に権利を保護するための基盤としても活用される。

- 発明名称：薬剤複合体用ブロック共重合体及び医薬組成物
- 出願番号：2009－7007877
- 特許権者：同社

2014 年 7 月 14 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®に関する特許がオーストラリアにおいて特許査定を受けたと発表した。

同社は、最重要パイプラインとして位置づけている NC-6004 ナノプラチン®に関する出願について、オーストラリア特許庁から特許査定を受けた。これにより、米国、欧州、台湾に加えてオーストラリアにおいても特許権を確保できることになった。

- 発明名称:医薬組成物又は組合せ剤
- 出願番号:2009208481
- 特許権者: 同社

2014 年 6 月
2014 年 6 月 26 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®に関する特許が台湾において特許査定を受けたと発表した。

同社は、最重要パイプラインとして位置づけ、現在、台湾を含めアジア地域で膵臓がんを対象に第 3 相臨床試験を進めている NC-6004 ナノプラチン®に関する出願について、台湾特許庁から特許査定を受けた。NC-6004 に関する特許は既に米国、欧州おいて特許査定を受けており、今回の査定により台湾においても特許権を確保できることになったとしている。

NC-6004 は、台湾の Orient Europharma Co., Ltd.（以下、OEP 社）と共同で開発を進めており、ゲムシタビンとの併用療法における、台湾を含むアジア地域での PhaseⅢ試験が進捗している。
OEP 社は製造子会社である OP Nano 社を設立しており、NC-6004 を含む医薬品の製造工場が 2016 年（台湾）に完成予定である。同社は、当該特許が台湾において特許査定を受けたことで、将来の製造および販売活動がより強化されるものと考えているとのことである。

2014 年 6 月 23 日、同社は、エーザイ株式会社（東証１部 4523）所有の新規医薬品候補「E7974」

の開発、販売等に関し、全世界を対象とする独占的なライセンス契約を締結したと発表した。

同社によれば、抗体などをセンサーとして利用し、ミセル化技術と組み合わせることによって標的細胞選択性を改善し、薬効の増強及び副作用の軽減を可能とする新技術「ADCM（Antibody/Drug-Conjugated Micelle:抗体結合型のミセル化ナノ粒子）」を開発してきたが、エーザイ社との共同研究を進める中でエーザイ創製の高活性の抗がん剤E7974にADCM技術を適用することにより、動物実験において治療域を約10倍に拡大できることを確認したという。当該研究成果を踏まえ、同社は抗体結合型E7974含有ミセル化製剤について、開発及び製品化する期待度が高いと判断し、自社開発品目として開発していくことを決定し、ライセンス契約に至ったという。

当該ライセンス契約に基づき、同社は契約締結時に一定の契約金を、また、開発スケジュールに則し、開発が一定の段階に進んだときに一定のマイルストーンをエーザイ社に支払うこととなる。他方、同社の開発が進捗し、一定の段階に達した場合などに、当該新規医薬品候補の開発、販売権等を同社から買い戻すための優先交渉権をエーザイ社に付与することも契約に盛り込まれているという。

2014年6月3日、同社は、核酸デリバリー技術に関する物質特許が中国で特許査定を受けたと発表した。

同社によれば、siRNAなどの核酸医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、中国特許庁から特許査定を受けた。同社は、次世代型プラットフォーム技術として、NanoFect®の研究開発に注力しており、国内に加えて、中国においても物質特許を確保できることとなる。

siRNAなどの核酸は次世代型医薬品として注目される一方で、体内での安定性が極めて低いため、局所投与による治療が主流となっている。そのため、局所投与が困難な標的細胞に確実に導入するにはキャリアの利用が必要不可欠であり、優れたキャリアの開発が世界的に期待されている。同社は、NanoFect®システムの開発に注力し、3つのプロトタイプを確立した。当該発明は、同社独自技術となるシステムAに関する物質特許で、細胞への到達、侵入、放出までを制御する革新的キャリアシステムであるとのことである。

同社は、NanoFect®技術の優位性を製薬企業へ発信すると同時に、NanoFect®を用いた核酸医薬品の研究開発を推し進め、未だがん領域では成し得ていない画期的な核酸医薬品として、同社の将来を担うパイプラインとして製品化を目指すとしている。

2014年5月

2014年5月19日、同社はタンパク医薬のデリバリーに関する物質特許が欧州で特許査定を受けたと発表した。

同社によれば、タンパク医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、欧州特許庁から特許査定を受けた。これにより、ポリマーミセル型タンパク医薬キャリアに関する次世代型プラットフォーム技術に適用可能な物質特許を、日本、米国に加え欧州でも確保できることとなる。

2014年4月

2014年4月2日、同社は、2014年3月期通期業績予想の修正を発表した。

2014年3月期連結業績予想
売上高：471百万円（前回予想466百万円）
営業利益：△1,126百万円（同△1,174百万円）
経常利益：△1,104百万円（同△1,176百万円）
当期純利益：△1,122百万円（同△1,198百万円）
1株当たり当期純利益：△30.67円（同△32.75円）

修正理由
売上高については、NC-6004（ナノプラチン®）及び NC-6300（pH応答性エピルビシンミセル）について、Orient Europharma Co., Ltd.からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入並びに治験薬供給収入、興和社からのライセンス及び共同開発契約に基づくマイルストーン収入、アルビオン社との共同開発契約に基づく化粧品材料供給及び契約収入等により、前回予想を上回る見込みであるという。

研究開発等に必要な費用については、NC-6004及び NC-4016（ダハプラチン誘導体ミセル）の米国及び日本国内における臨床試験の実施、次世代医薬品候補パイプラインの拡充に向け、薬剤ターゲティングの選択性を高めるADCMやsiRNAなどの研究開発等を進めたが、開発費を保守的に見込んでいた結果、営業損失は前回予想より改善する見込みである。

営業外収支に関して、期中に行った公募（グローバルファイナンス）による新株式発行及びオーバーアロットメントによる同社株式に関する第三者割当による新株式発行等に係る株式交付費211百万円を一括費用化した。一方、外国為替相場変動のため、外貨建て預金の評価替えにより生じた為替差益224百万円を営業外収益として見込んでいることから、経常損失も前回予想より改善する見込みである。

当期純損失については、固定資産の減損損失16百万円等を見込むものの、経常利益の修正に

より、前回予想より改善する見込みである。

同日、同社は、2015 年 3 月期業績予想を発表した。

2015 年 3 月期連結業績予想
売上高：330 百万円（2014 年 3 月期業績予想 471 百万円）
営業利益：△1,955 百万円（同△1,126 百万円）
経常利益：△1,929 百万円（同△1,104 百万円）
当期純利益：△1,970 百万円（同△1,122 百万円）
1 株当たり当期純利益：△53.85 円（同△30.67 円）

売上高については、2014 年 3月期と同様に、既に締結済の契約に基づく治験用製剤供給収入、化粧品材料供給収入、その他の契約収入を主な売上として予想しており、今後の事業開発活動の結果として発生する収入は含めていない。

研究開発については、2014 年 3月期に実施したグローバルファイナンスによる資金調達を踏まえ、自社開発を推進している NC-6004（ナノプラチン®）の国内 Phase I 試験、米国 Phase Ib/II 試験及び NC-4016（ダハプラチン誘導体ミセル)の米国 Phase I 試験を含めた日米、アジア地域における開発の促進・加速化を図る予定である。また、次世代医薬品候補として研究開発を推進している ADCM や核酸医薬品については、現在国内外の企業とのフィージビリティスタディを開始しており、早期に研究成果をまとめ、共同開発を含め提携等の実現に向けステージアップを目指す。2015 年 3月期は、上記研究開発推進等により研究開発費を 1,599 百万円と見込んでいる。

研究および開発を早期に確実に推進するため、人材の確保に努めており、人員及び組織の強化も計画している。以上に加え、研究開発部門の連携及び経営体制・組織の強化を図るため、研究所機能を拡張するとともに、東京オフィスの開発及び管理部門と本社研究部門の機能統合を進めるべく、2014 年 6月に千葉県柏市内への移転を予定している。

2014 年 3 月

2014 年 3 月 18 日、同社は Antibody/Drug-Conjugated Micelles に関する物質特許が、米国にて特許査定を受けたことについて発表した。

がん細胞や疾患部位を標的にしたセンサーを結合し、薬物を患部へ確実かつ大量に送達することを目的とした Antibody/Drug-Conjugated Micelles（ADCM）に関する物質特許は、既に日本、欧州、カナダ、オーストラリア、中国で成立している。同社によれば、同特許は米国に

おいても特許査定を受け、米国地域における知的財産権を確保したことにより、グローバルな知的財産となったとのことである。

2014 年 2 月
2014 年 2 月 12 日、同社は株式分割、及び単元株制度の採用について発表した。

2014 年 3 月 31 日を基準日として、1 株につき 100 株の割合をもって分割する。株式分割前の発行済株式総数 402,632 株に対して、株式分割後の発行行済株式総数は 40,263,200 株となる。また同社株式の売買単位は 1 株から 100 株に変更される。

2013 年 12 月
2013 年 12 月 26 日、同社は NC-6004 ナノプラチン®のアジア地域を対象とする第Ⅲ相臨床試験地域の拡大について発表した。

同社は、台湾 Orient Europharma Co., Ltd.（以下、OEP 社）と共同で開発を進めている NC-6004 ナノプラチン®のアジア地域における膵臓がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験について、台湾、シンガポール及び香港に加え、治験国拡大のため中国及び韓国においても臨床試験を実施することを OEP 社と合意した。2014 年 1 月の IND 申請に向けて準備を進めている。

Phase Ⅲ試験の概要
対象疾患：転移性および進行性膵臓がん
実施地域：台湾、シンガポール、香港、中国、韓国
試験内容：ゲムシタビンとの併用による有効性検証試験

2013 年 12 月 17 日、同社はタンパク医薬のデリバリーに関する物質特許が韓国で特許査定を受けたことについて発表した。

同社によれば、タンパク医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、韓国特許庁から特許査定を受けた。これにより、タンパク医薬品の開発に必要とされるキャリアに関する物質特許を日本、米国に加え、韓国においても特許権を確保できることになる。

2013 年 10 月
2013 年 10 月 21 日、同社は、2013 年 10 月 7 日に発表した新株式発行および株式売出しに関し、発行価格及び売出価格等が決定したと発表した。

- 公募による新株式発行の発行価格：1株につき268,900円
- 同社株主による株式売出しの売出価格：1株につき268,900円
- オーバーアロットメントによる売出しの売出価格：1株につき268,900円
- 第三者割当による新株式発行の払込金額：1株につき257,460円。

2013 年 10 月 11 日、同社は、2013 年 10 月 7 日に発表した新株式発行および株式売出しに関し、国内引受会社に対し、信越化学工業株式会社（東証 1 部 4063）への販売を要請することを決定したと発表した。

2013 年 10 月 7 日、同社は、新株発行及び株式売出し並びに主要株主である筆頭株主の異動について発表した。

発行についての概要
同社が今回予定している新株発行及び株式売出しに関しての概要は以下。なお、当該売出しにより、主要株主である筆頭株主の異動が見込まれる。

新株式発行及び株式売出し
- 募集株式の種類及び数：普通株式33,600株（国内一般募集における国内引受会社の買取引受けの対象株式として当社普通株式5,600株、海外募集における海外引受会社の買取引受けの対象株式として当社普通株式28,000株）
- 払込金額の決定方法：2013年10月21日から2013年10月23日までの間のいずれかの日の同社普通株式の普通取引の終値に0.90～1.00を乗じた価格を仮条件とし、需要状況を勘案し決定する
- 募集方法：国内はＪＰモルガン証券株式会社による国内一般募集に係る買取引受けとし、国内の適格機関投資家を対象に一般募集を行う。海外における新株式発行に係る募集はJ.P.Morgan Securities plcに海外に係る全株式を買取引受けさせる
- 払込期日：2013年10月28日から2013年10月30日までの間のいずれかの日

同社株主による株式売出し（海外売出し）
- 売出株式の種類及び数：普通株式8,400株
- 売出価格：国内一般募集及び海外募集における発行価格と同一とする
- 売出人および売出株式数：ウィズ・ヘルスケアＰＥ１号投資事業有限責任組合：7,700株、シーエスケイブイシー技術革新成長支援ファンド投資事業有限責任組合：700株
- 売出方法：米国及び欧州を中心とする海外における売出しとし、J.P.Morgan Securities plcの総額買取引受けにより行う

同社株式の売出し（オーバーアロットメントによる売出し）
- 売出し株式の種類及び数：普通株式6,300株（オーバーアロットメントによる国内売出しの対象株式として当社普通株式840株、オーバーアロットメントによる海外売出しの対象

株式として当社普通株式5,460株）

- 売出人：国内売出しはJPモルガン証券株式会社、海外売出しはJ.P.Morgan Securities plc
- 売出価格：国内一般募集及び海外募集における発行価格と同一とする
- 売出方法：オーバーアロットメントによる国内売出しに関しては、国内一般募集の需要状況等を勘案した上で、ＪＰモルガン証券株式会社が同社株主から840株を上限として借入れる同社普通株式の国内における売出し（オーバーアロットメントによる国内売出し）を行う。オーバーアロットメントによる海外売出しに関しては、海外募集及び海外売出しの需要状況等を勘案した上で、J.P. Morgan Securities plc が同社株主からＪＰモルガン証券株式会社を経由して5,460 株を上限として借入れる同社普通株式の米国及び欧州を中心とする海外における売出し（オーバーアロットメントによる海外売出し）を行う。

第三者割当による新株式発行

- 募集株式の種類及び数：普通株式6,300株（国内及び海外におけるオーバーアロットメントによる売出しの対象株式数に対応する）
- 払込金額の決定方法：国内一般募集及び海外募集における発行価格と同一とする
- 割当先：国内第三者割当増資はJPモルガン証券株式会社を割当先とし、海外第三者割当増資はJ.P.Morgan Securities plcを割当先とする
- 申込期間：2013年11月22日
- 払込期日：2013年11月25日

公募による新株式発行及び第三者割当による新株式発行に伴う発行済株式総数の推移

- 2013年9月30日現在の発行済み株式数：364,352株
- 公募による新株式発行に伴う増加株式数：33,600株
- 公募による新株式発行後の発行済株式総数：397,952株
- 第三者割当増資による新株式発行に伴う増加株式数：6,300株（注）
- 第三者割当増資による新株式発行後の発行済株式総数：404,252株（注）

（注）第三者割当による新株式発行は募集株式数の全株に対し JP モルガン証券株式会社及び J.P.Morgan Securities plc から申し込みがあり、発行がなされた場合の数字

調達する資金の使途

国内一般募集、海外募集、国内第三者割当増資及び海外第三者割当増資による手取概算額合計は 11,216 百万円であり、資金使途は以下の通りである。

- 主要開発パイプラインの一部及び新規開発パイプラインの試験研究その他の研究開発費用：8,916百万円（2013年11月から2018年10月まで）
- その他の運転資金：2,300百万円（2013年11月から2018年10月まで）

目的と背景

同社では自社開発を進めているシスプラチン誘導体ミセル（NC-6004）及びダハプラチン誘導体ミセル（NC-4016）についてグローバルな視野に立った開発を進めており、早期承認を目指して規模を拡大しながら欧米、日本及びアジア地域における臨床開発を早期・計画的に推

し進めるとともに、siRNA、抗体とミセル化ナノ粒子技術を結合させるシステム ADCM（Antibody Drug-Conjugated-Micelle：プロテアソーム阻害剤）など新規パイプラインの拡充、臨床開発への移行のための研究開発費用として今回の資金調達を行うことを決定した。

2013 年 9 月

2013 年 9 月 30 日、同社は、株式会社アルビオンとの新たな共同開発契約締結について発表した。

同社とアルビオン社は、2012 年 7 月より、同社のミセル化技術とアルビオン社の商品化等を協働させた化粧品素材の共同開発を進めている。今回、新たな化粧品分野（育毛剤、乳液など）での共同開発および事業化について契約を締結した。

2013 年 9 月 25 日、同社はタンパク医薬のデリバリーに関する物質特許が米国で特許査定を受けたことについて発表した。

同社によれば、タンパク医薬のデリバリーに適用可能なキャリア（担体）に関する出願が、米国特許庁から特許査定を受けた。これにより、ポリマーミセル型タンパク医薬キャリアに関する次世代型プラットフォーム技術に適用可能な物質特許を、日本に加え米国でも確保できることになる。

2013 年 9 月 24 日、同社は NC-6004（ナノプラチン®）に関し、中国のライセンス領域許諾に関する覚書締結について発表した。

同社は、NC-6004（ナノプラチン®）に関し、Orient Europharma Co., Ltd.（OEP 社：本社台湾）との間で、アジア地域を対象とする開発及び販売権に加え、全世界を対象とする非独占製造権を付与するライセンス契約を締結している。

現在の契約においては、その対象として中国（本土）は含まれていないが、この度、OEP 社との間で、台湾、香港、シンガポールで実施することを計画している膵臓がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験の地域拡大のため、中国を追加することを合意し、併せて、中国をライセンス領域として追加許諾することについて 2 年以内に正式な契約を締結することを合意した。今後、ライセンス契約の改定を念頭に経済条件（一時金、マイルストーン、ロイヤリティ）の交渉を行う。

2013 年 9 月 17 日、同社は台湾 OEP 社の製造子会社である OP Nano 社への出資決定につ

いて発表した。

同社によれば、NC-6004（ナノプラチン®）に関しアジア地域でのライセンス契約を結んでいる Orient Europharma Co., Ltd.（以下、OEP 社：本社台湾）との間で、OEP 社が製造子会社として設立した OP Nano 社（台湾）に出資することを決定したとのこと。（出資金額は 1 億円または NT＄（台湾ドル）29,500,000 のいずれか低い金額）

同社は、NC-6004（ナノプラチン®）に関し、OEP 社との間で、2012 年 11月、アジア地域を対象とする開発及び販売権に加え、新たに全世界を対象とする非独占製造権を付与するライセンス契約を締結した。当該投資は、このライセンス契約締結時に合意されていたもので、OP Nano 社の事業計画および事業規模が固まり、具体的な投資を決定した。

台湾政府は台湾の国内企業が開発する優れた新薬候補には、医薬品の早期承認取得や薬価の優遇をはじめ、様々な規制をできる限り緩和するとともに、振興・援助策を講じる方針を打ち出している。OEP 社は、NC-6004 が台湾政府の振興策の適用を受ける基準を満たしており、政府の振興策が NC-6004 の開発・承認の迅速化、早期化に大きく貢献するものと期待し、製造子会社である OP Nano 社を設立した。

OP Nano 社では、台湾だけでなく、日・米・欧の製造基準（GMP：Good Manufacturing Practice）を遵守し、各国規制当局の査察をクリアーした世界レベルの製剤を製造し、供給する計画である。

OP Nano 社および製造工場の概要は以下のとおり。

【OP Nano 社の事業内容】
ミセル化ナノ粒子製剤製造の他、新薬・バイオシミラーなどの（受託）製造

＜製造工場＞
- 投資総額：NT$1,000百万（工場建設に関連する設備等を含む）
- 工場完成時期：2016年12月予定
- 延床面積：8,900m^2
- 場所：Huwei, Yunlin, 台湾

当該投資に伴い、同社から OP Nano 社に取締役（非常勤）を派遣するとともに、2015 年 3 月期以降、ミセル化ナノ粒子製剤の製造に関する技術移転を実施する予定である。

NC-6004 は、2013 年 6月に台湾当局へ膵臓がんを対象とした第Ⅲ相臨床試験開始のためのプロトコルを提出しており、まもなく、患者への投与が開始される予定である。

トップ経営者

代表取締役:中冨一郎博士は 1996 年 6 月以降同社の代表取締役社長 CEO を務めている。久光製薬株式会社でのキャリアの後、米国セラテック社で事業開発担当副社長を務め、後に日本セラテック株式会社の代表取締役社長となった。iPS アカデミアジャパン株式会社の社外取締役でもある。

取締役:花田博幸氏は、取締役 COO（Chief Operating Officer）兼事業開発部長を務めており、同職就任は 2014 年 5 月。2007 年 12 月にナノキャリア顧問、2008 年 5 月に事業開発部長の職に就いた。それ以前はアンジェス MG 株式会社の顧問を務め、同社以前は、生化学工業株式会社の執行役、さらに株式会社そーせいの開発部門長を歴任。同氏のキャリアは 1980 年の久光製薬社に始まる。

取締役:松山哲人氏は、取締役 CFO（Chief Financial Officer）兼社長室長を務めており、同職就任は 2015 年 6 月。2014 年 12 月にナノキャリア顧問、2015 年 1 月に CFO 兼社長室長の職に就いた。それ以前は、日東紡績株式会社参与、同理事、ニットーボーメディカル株式会社専務取締役を歴任。

岡野光夫博士（社外取締役）は、ナノキャリア技術の中心的な発明者の一人であり、研究開発の方向性への助言および重要な戦略的判断の決定にあたって重要な役割を果たしている。同博士は、東京女子医科大学ならびに米国ユタ大学の教授であり、先端生命医科学研究所所長も務める。その研究専門は生体材料、人工臓器、DDS、組織再生などである。

大橋彰医学博士（社外取締役）は、臨床開発におけるその豊かな経験や知識に基づいて臨床/非臨床的プログラム戦略および同社のプロジェクトの実行に関する助言や情報提供を行う主要メンバーである。

松村淳氏（社外取締役）は、ウィズ・パートナーズ社代表取締役 COO であり、同社は氏の経験と幅広い人脈を基に製薬企業との提携など事業及び経営面でのサポートをしてもらうことよって、経営にもプラスの相乗効果が生まれることを期待していると述べている。

藤澤朋行（社外取締役）氏は、元武田薬品工業株式会社（東証 1 部 4502）の研究アライアンス室長であり、現ウィズ・パートナーズ社マネージング・ディレクターである。同社は氏の経験と幅広い人脈を基に製薬企業との提携など事業及び経営面でのサポートをしてもらうことよって、経営にもプラスの相乗効果が生まれることを期待していると述べている。

サイエンティフィック・アドバイザー:同社は、東京大学の片岡一則教授および筑波大学（学際物質科学研究センター）の長崎幸夫教授と顧問契約を結んでいる。片岡教授は新規技術に関する助言を行い、長崎教授は siRNA の応用を中心として助言を行っている。

従業員

2015 年 3 月末現在、常勤スタッフは 48 名。平均年齢は 44.0 歳である。

大株主

大株主上位10名	所有株式数の割合
ウィズ・ヘルスケアPE1号投資事業有限責任組合	7.25%
信越化学工業株式会社	6.24%
日本トラスティ・サービス信託銀行株式会社（信託口）	3.67%
中冨　一郎	2.72%
日本マスタートラスト信託銀行株式会社（信託口）	2.37%
興和株式会社	2.35%
DEUTSCHE BANK AG LONDON-PB NON-TREATY CLIENTS 613	1.99%
UBS AG LONDON A/C IPB SE GREGATED CLIENT ACCOUNT	1.51%
CYNTEC CO., LTD.	1.46%
松井証券株式会社	1.37%

出所：会社データよりSR社作成
2015年3月末現在

配当および株主還元

2015 年 3 月期時点で配当を含め、株主還元策は実施されていない。

ところで

用語集

同社関連の基本的なバイオ用語

DNA（デオキシリボ核酸）
生物の全遺伝情報を含む核酸。タンパク質合成のような、生命維持に必要なプロセスに関する情報の格納場所、あるいは指示コードの鋳型として機能する。その情報を実際に保有している DNA 分子のセグメントを遺伝子と呼ぶ。

pH
国際的な合意に基づいた相対的尺度による酸性度の指数。純水は pH7 に近い中性 pH。pH7 未満の環境は「酸性」と呼ばれ、pH7 を超える環境は「アルカリ性」または「塩基性」と呼ばれる。血漿はわずかにアルカリ性で pH7.35 程度である。この値は、身体がストレスなしに機能するために最適なレベルであり、生理的 pH と呼ばれる。

RNA（リボ核酸）

- **DNA**にやや類似する核酸。異なるのは、DNAが2本鎖であるのに対してRNAは通常1本鎖という点である。これは、RNAの極めて重要な特徴であり、例えばタンパク質の合成に必要な情報の運搬といった役割を果たす。
- **mRNA**（伝令RNA）
  情報をDNAからリボソーム（RNAとタンパク質の組み合わせ）まで運ぶもので、リボソームでは続いてタンパク質が作り出される。
- **RNA干渉**（RNAi）
  遺伝子がサイレンシング（複製の阻止）されるプロセスであり、ウイルスに対する身体本来の防御機能の一部。特定の有害な体内プロセスをサイレンシングすることが可能であると研究者が発見した際には、医学および生命工学ベンチャーの耳目を集める話題となった。RNAiでは、siRNAの断片が「敵対」RNAとカップリングして情報を運ぶことを阻止し、敵対細胞を効果的に死滅させる。RNAiは、転写後遺伝子サイレンシング（PTGS）と呼ばれることもある。
- **siRNA**
  低分子干渉RNA、「短干渉RNA」または「サイレンシングRNA」とも呼ばれる。RNA干渉に関与するRNAの分類。siRNAの発見は、1999年Science誌で最初に発表された。
- **アンチセンスRNA**
  mRNAと相補性を持つ1本鎖のRNAであり、mRNAと巧妙に結合する。アンチセンスRNAを相補的mRNAと結合させて翻訳機構を物理的に妨害することによって、細胞機能を妨げることに利用できるかもしれない。医薬的利用は今のところ見出しづらいとされている。アンチセンスRNAはRNA干渉（RNAi）とは異なる。
- **他のRNA種**
  20種以上のRNAが存在する。tRNA（転移RNA、タンパク質の産生に不可欠）、rRNA（リ

ボソームRNA、触媒）が重要であると思われる。

アミノ酸
アミノ酸はタンパク質の構成要素をなす。約 300 種の既知のアミノ酸が存在し、そのうち約 20 種がタンパク質合成に関与している。

ウイルス
通常は 10～300 ナノメートルの大きさの感染性因子であり、宿主細胞内でのみ繁殖することができる。ウイルスは、細胞構造を利用してウイルス自身の DNA または RNA を複製することによって細胞を乗っ取る。通常は、ウイルスが急速に繁殖する一方で宿主細胞は死ぬことになる。ウイルスは、人間における外因性疾患源の最も重大なものの一例である。

エンドサイトーシス
物質が細胞膜を通らずに細胞内に取り込まれること。言い換えれば、細胞が物質を「飲み込む」こと。

（化学）結合
原子や分子が互いに結びつくプロセス。

核酸
遺伝情報を保有・運搬し、また細胞内での構造をなす高分子。最も一般的なものは DNA および RNA であり、これらはすべての細胞およびウイルス中に見出せる。

共有結合
原子が電子（マイナス電荷を有する原子より小さい粒子）を共有することによって互いに結びつく（結合する）ことである。

血漿
水のような溶液（ほとんど水）で、血液の主要構成成分で、その量の半分以上を占める。血液細胞にとっての自然環境である。

抗体（免疫グロブリン、Ig）
細菌やウイルスなどの外来物質への反応として免疫システムが作り出す、固有のタンパク質。侵入細胞を死滅させるか、その死滅を助ける。異なる防御機能を持つ 5 種類の抗体が存在する。

高分子
大きな分子。

高分子ミセル

ブロック重合体（ブロックコポリマー）から形成され、球状の内核および外殻を有する高分子の集合体。

細胞

生物を構成する最小単位。細胞は、本質的にはある程度自律した有機分子の集まりであり、それが属する生物の機能および生殖に必要な情報を含む。

サイトカイン

短命の分子の分類で、タンパク質である場合が多く、ある種の細胞によって、自身および他の細胞の機能に影響を与えるために作り出される。基本的に、これらは細胞に特定の反応（たとえば特定の化学物質を作り出す）を起こさせるシグナル伝達（メッセンジャー）因子である。サイトカインは免疫機構において重要な機能を持つ。

ジアミノシクロヘキサン白金（DACHPt ; ダハプラチン）

有機白金化合物であり、オキザリプラチンの基本構成要素。

（分子の）自己集合

自己会合とも呼ばれ、無秩序の系が、その構成要素間の相互作用によって自然に規則正しい構造を形成するプロセスをいう。

重合体（ポリマー）

化学結合（共有結合）によって連結された反復構造からなる高分子。

- **共重合体（コポリマー）**
  1種類以上の単量体からなる重合体。1種のみの単量体を使用した場合は同種重合体となる。
- **単量体（モノマー）**
  他の単量体と結合して重合体を形成することができる小分子（通常は有機分子）。最も有名な単量体は、ブドウ糖およびアミノ酸である。アミノ酸は、タンパク質という重合体を形成する天然の単量体である。
- **同種重合体（ホモポリマー）**
  単一の単量体の鎖からなる重合体。
- **ブロック共重合体（ブロックコポリマー）**
  ２種以上の同種重合体の単位が共有結合によって結合された共重合体。

親水性分子

水と一時的結合を形成する分子。言い換えれば、これらは「水を好む」性質を持つ。

疎水性分子

水と反発する分子。言い換えれば、これらは「水を嫌う」性質を持つ。

タンパク質
アミノ酸からなる有機化合物。人体の主要な構造部分をなしている。人体組織の構成要素として、あるいは生化学的反応の制御を補助する「酵素」（生体触媒）として作用することができる。

ナノサイズ
ナノスケール、すなわちナノメートルで測定される大きさ。ナノメートルは 1 メートルの 10 億分の 1 である（1/1,000,000,000）。通常は、1～100 ナノメートルの大きさの話をする場合に「ナノスケール」という用語を使う。

白金（Pt）
化学元素であり、かつ貴金属。白金は高い細胞毒性（細胞に対して毒性であること）でも知られている。実際には、DNA 合成を阻害（妨害または減少）して細胞の分裂を妨げる。

分子
強力な化学結合によって明確な構造が保たれている、安定した原子の集団。有機（生物学的起源）あるいは無機（鉱物起源）の分子がある。有機分子は必ず炭素を含むが、炭素を含むすべての分子が有機であるわけではない。

ペプチド
αアミノ酸と呼ばれる特定のアミノ酸同士が結合した場合に形成される小重合体。これらのアミノ酸は、すべてのタンパク質の構成要素である。

ポリエチレングリコール（PEG）
ポリエーテルという有機化合物の一種として広く知られている。我々が関心を寄せるのは、水溶性があり、一部の疎水性分子と結合した場合に界面活性剤（ミセルの構成要素）を形成できることである。

ミセル
水性コロイド中に分散している界面活性剤と呼ばれる細胞の集まり（凝集体）。コロイドとは、2 種類の物質が互いに均一に分散している混合物である。溶液とは異なり、これらの物質は、通常はその粒子が溶けるには大きすぎるため、懸濁しているだけであって溶解はしていない。コロイドの例は牛乳である。界面活性剤とは、疎水性の「尾部」および親水性の「頭部」をどちらも含むタイプの分子である。この特徴により、界面活性剤は何にでも溶けることができる。水中で一定の濃度に達すると、これらは小さな球状の構造を形成するが、その際、それぞれの界面活性剤分子の疎水性尾部が内部に隠れて内核を形成し、親水性頭部が外部に突出して外殻を形成する。ミセルは、石けんまたは洗剤に似た作用をすることができ、不溶性の粒子がミセル内核（それ自体も不溶性であり、基本的には油である）に拾われてその内部に包み込まれ、「洗浄」効果を示す。これがまさに同社の技術のポイントであり、小さなミセルが不溶性かつ

有毒であることも多い薬物を包み込み、血液中を運ぶことができる。

リガンド
特にタンパク質または核酸と結合するシグナルトリガー分子であり、例えば医薬物質とターゲットとなるがん細胞との結合を可能にするナビゲーション・ブイまたはセンサーとしての役割を果たす。

有機金属化合物
炭素・金属間の結合を持つ化合物。金属が白金である例が有機白金化合物である。ダハプラチンは有機白金化合物の例である。

医薬品関連用語の基礎知識

DDS（薬物送達システム）
薬物が身体から放出、吸収、分布または排除される方法を改変することによって、薬剤プロファイルを改善する技術である。目的は薬物を身体内のターゲット部位に送達することである。簡単に言えば、DDS とは薬剤送達のシステムである。

GMP
医薬品の品質管理基準（Good Manufacturing Practice）の略であり、同社の事業背景との関連では、International Conference on Harmonization （ICH）によって認可されている研究開発・製造ガイドラインの一部にあたる。

アクティブ・ターゲティング
部位特異性リガンド、またはシグナル伝達分子を用いて薬物をターゲット臓器に運ぶことからなる、非浸潤性の治療手段である。これらの分子はセンサーとして働き、ミセルが運ぶ薬物と結合している場合は薬物送達効率を向上させる。

アブラキサン
Abraxis Bioscience Inc.が開発販売している抗がん剤であり、最初に市販された DDS 抗がん剤の一つ。パクリタキセルをベースとし、送達システムとしてアルブミン（水溶性血清タンパク質）を使用している。

インヴィトロ（In Vitro）
生体組織外部の制御された環境で行うプロセスを意味する。

インヴィヴォ（In Vivo）
動物やヒトといった生体を使って行うプロセスを意味する。

オキザリプラチン

シスプラチンと同族の白金系抗がん剤である。1976 年に日本で発見され、Debiopharm 社にライセンスアウトされた。Debiopharm 社は、オキザリプラチンを大腸がん治療薬として開発し、1994 年に Sanofi-Aventis 社（現 Sanofi 社）にライセンスした。1999 年に欧州で、2004 年に米国での販売が認可された。Sanofi 社はこれを商品名 Eloxatin として販売している。新規化学成分としての特許は 2007 年に期限切れを迎えたが、結腸がんの治療におけるさまざまな用途に関しては 2013～2016 年まで特許保護される。

カルボプラチン

シスプラチンとほぼ同じ効果を持ち、かつ毒性を軽減する薬として、Johnson Matthey 社が合成し、英国の癌研究所、米国の国立癌研究所（NCI）、米国の Bristol-Myers Squibb 社が開発した抗悪性腫瘍剤（抗がん剤）。

シスプラチンに比べて腎毒性が低く、シスプラチン投与時には必要な水分負荷がカルボプラチン投与時には必要ない。またシスプラチンの特徴的な副作用である嘔気・嘔吐もカルボプラチンでは軽減され、プラチナ製剤の中では最も副作用が少ないとされている。抗腫瘍効果を発揮するメカニズムはシスプラチンとほぼ同じで、がん細胞の 2 本の DNA 鎖と結合することで、DNA の複製を阻害して、がん細胞を死滅させる。

契約一時金（アップフロント）

通常ライセンス契約の開始時に行われる現金または株式の支払である。

ゲムシタビン

1983 年に米国イーライリリー社で合成されたデオキシシチジン誘導体の抗悪性腫瘍剤であり、細胞内に取り込まれたのちリン酸化され、DNA 合成を阻害することで抗腫瘍効果を発揮する。非小細胞肺がん、膵臓がん、胆道がん、尿路上皮がん、手術不能または再発乳がんを適応症とする。非小細胞肺がんでは、シスプラチンなどプラチナ製剤との併用が標準治療の 1 つとなっているほか、単独で用いられることもある。

抗体結合型ミセル

同社が開発した化合物の種類である。結合（コンジュゲード）とは、共有結合を介して生体分子を組み合わせた生成物である。抗体などのセンサーを薬物が封入されたミセルと結合させ、薬物送達効率を向上させるために使用することができる。

シスプラチン

白金系がん治療（抗がん）薬の一種。1978 年 FDA に認可され、カルボプラチンおよびオキザリプラチンを含む薬物群では最初の（認可）薬であった。DNA まで浸透し、細胞分裂を妨害する。最終的には細胞死を引き起こす有機白金化合物を身体内で形成することによって作用

する。静脈内投与で、最も広く使用されている抗がん剤の一つである。非常に有効な抗がん剤でありながら、重度の副作用を伴うため使用量に制限がある。

シスプラチン内包高分子ミセル
ミセルの核内部にシスプラチンを封じ込めた高分子ミセルである。

代謝物
生命の維持のために有機体が行う一連の化学反応の生産物。

タキソール
Bristol-Myers Squibb 社から販売されているパクリタキセルで、パクリタキセルをヒマシ油配合物（クレモホール EL）およびエタノールに溶解したものである。

ダハプラチン誘導体ミセル
同社が開発した、ジアミノシクロヘキサン白金（Dach プラチン）を封入した新しいミセルである。

治療指数（Therapeutic index）
薬を治療に用いる際、治療効果や安全性を問うために使う用語。治療指数が大きいほど安全性が高く、治療に使う薬として好ましいとされる。計算式は、LD50/ED50。薬を投与した動物の半数が死亡する半数致死量（LD50）を、投与した動物の半数が最小限の効果を示す半数効果用量（ED50）で割る。

ドキソルビシン
がん細胞の DNA 合成を妨げるほか、DNA を切断してがん細胞を殺す抗がん性抗生物質。悪性リンパ腫の CHOP 療法（シクロホスファミド、ドキソルビシン、ビンクリスチン、プレドニゾロン）をはじめとして、抗がん剤治療の中心薬として用いられている。悪性リンパ腫、肺がん、胃がん、胆嚢・胆管がん、膵臓がん、肝臓がん、大腸がん、乳がん、膀胱がん、子宮体がん、骨肉腫、多発性骨髄腫、各種の小児がんを適応症とする。

ドセタキセル
一般名ドセタキセルは、タキサン抗がん剤群の一つであり、乳がん、非小細胞肺がん、胃がん、子宮がん、前立腺がんなどの幅広い適応症で使われている。

ナノプラチン
同社が開発した薬物の商標（主要パイプライン参照）であり、ナノミセル技術を利用して作り出されたシスプラチン内包高分子ミセルである。特許保護される。

パクリタキセル

抗がん剤の一般名である。1967 年に米国で発見され、珍しいタイヘイヨウイチイの樹皮から単離された。Bristol-Myers Squibb 社によって商品開発され、タキソールとして販売されている。これは、別の薬剤ドセタキセル（タキソテールとして販売）・アブラキサンと共にタキサンと呼ばれる抗がん剤群を形成する。

マイルストーン
研究開発または臨床試験のマイルストーン達成と関連づけられた現金収入である。

薬物キャリア
薬物のターゲット領域への分布を向上させるように働く物質である。

臨床試験
所定の試験計画に従ってヒトを対象に行う生物医学または健康に関する調査研究であり、新薬、治療、または装置の安全性および効能を確認するために実施する。臨床試験は、第 I、II、III、IV 相といった数段階から成る。

第 I 相臨床試験
少人数のグループに対して行う新薬の試験であり、ほとんどの場合は健常者が対象となる。安全性の評価、安全な投与量の範囲決定および副作用の調査を目的とする。

第 II 相臨床試験
中規模の人数のグループに対して行われる探索的試験で、薬効、安全性、用量反応の確立を目的とした試験である。第 I 相と第 II 相試験は合わせて行われることがある。

第 III 相臨床試験
通常大人数の患者グループでの無作為化試験であり、類似条件下で従来治療と比較した薬効と安全性の確認を目的としている。当該試験が成功した場合、認可に向けて試験結果が規制当局に提出される。

第 IV 相臨床試験（市販後調査試験）
さまざまな患者集団における認可薬の効果と安全性、時には長期にわたる安全性について調査する。

第 0 相臨床試験
近年 FDA（アメリカ食品医薬品局）が定めたヒトに対する試験段階で、 FDA の「探索的治験薬研究」に関する 2006 年ガイドラインに基づき治療レベルを下回るごく少量の投薬で行われる。第 0 相は、化合物の安全性や薬効に関してではなく、化合物が生体外試験や動物試験の段階と同じ働きをするかどうかのデータを提供する。

ロイヤリティ

ライセンスアウトした製品の収入に関連して支払われる報酬。売上額の一定割合または固定額である。

IND（Investigational New Drug）申請・承認

臨床試験（治験）を実施するにあたり、治験実施申請資料を当局へ提出し、治験審査委員会から治験実施計画の承認を得ること。

無増悪生存期間（PFS：Progression-Free Survival）

病勢の進行がみられない状態で患者が生存している期間。

企業概要

企業正式名称	本社所在地
ナノキャリア株式会社	277-0882 千葉県柏市柏の葉 5-4-19 電話:047-169-6550
代表電話番号	**上場市場**
03-3548-0213（東京オフィス）	東証マザーズ
設立年月日	**上場年月日**
1996 年 6 月 14 日	2008 年 3 月 5 日
HP	**決算月**
http://www.nanocarrier.co.jp/	3 月
IR コンタクト	**IR ページ**
	http://www.nanocarrier.co.jp/ir/index.html
IR メール	**IR 電話**
info@nanocarrier.co.jp	03-3548-0217

会社概要

株式会社シェアードリサーチは今までにない画期的な形で日本企業の基本データや分析レポートのプラットフォーム提供を目指しています。さらに、徹底した分析のもとに顧客企業のレポートを掲載し随時更新しています。

SR社の現在のレポートカバレッジは次の通りです。

アートスパークホールディングス株式会社
株式会社アイスタイル
あい ホールディングス株式会社
アクリーティブ株式会社
株式会社アクセル
アズビル株式会社
アズワン株式会社
アニコムホールディングス株式会社
株式会社アパマンショップホールディングス
アンジェスMG株式会社
アンリツ株式会社
イオンディライト株式会社
株式会社イエローハット
株式会社伊藤園
伊藤忠エネクス株式会社
株式会社インテリジェント ウェイブ
株式会社インフォマート
株式会社VOYAGE GROUP
株式会社エス・エム・エス
SBSホールディングス株式会社
エヌ・ティ・ティ都市開発株式会社
エレコム株式会社
エン・ジャパン株式会社
株式会社オンワードホールディングス
亀田製菓株式会社
株式会社ガリバーインターナショナル
キヤノンマーケティングジャパン株式会社
KLab株式会社
グランディハウス株式会社
株式会社クリーク・アンド・リバー社
ケネディクス株式会社
株式会社ゲームカード・ジョイコホールディングス
株式会社ココカラファイン
コムシスホールディングス株式会社
株式会社ザッパラス
サトーホールディングス株式会社
株式会社サニックス
株式会社サンリオ
Jトラスト株式会社
株式会社じげん
GCAサヴィアン株式会社
シップヘルスケアホールディングス株式会社
株式会社ジェイアイエヌ
ジャパンベストレスキューシステム株式会社
シンバイオ製薬株式会社
スター・マイカ株式会社
株式会社スリー･ディー･マトリックス
ソースネクスト株式会社
株式会社ダイセキ
株式会社髙島屋
タキヒヨー株式会社
株式会社多摩川ホールディングス
株式会社チヨダ
株式会社ティア
DIC株式会社
株式会社デジタルガレージ
株式会社TOKAIホールディングス
株式会社ドリームインキュベータ
株式会社ドンキホーテホールディングス
内外トランスライン株式会社
ナノキャリア株式会社
長瀬産業株式会社
日進工具株式会社
日清紡ホールディングス株式会社
日本駐車場開発株式会社
日本エマージェンシーアシスタンス株式会社
株式会社ハーモニック・ドライブ・システムズ
伯東株式会社
株式会社ハーツユナイテッドグループ
株式会社ハピネット
ビジョン株式会社
フィールズ株式会社
株式会社フェローテック
フリービット株式会社
株式会社ベネフィット・ワン
株式会社ベリテ
株式会社ベルパーク
松井証券株式会社
株式会社マックハウス
株式会社マネースクウェアHD
株式会社 三城ホールディングス
株式会社ミライト・ホールディングス
株式会社メディネット
株式会社夢真ホールディングス
株式会社ラウンドワン
株式会社ラック
リゾートトラスト株式会社
株式会社良品計画
レーザーテック株式会社
株式会社ワイヤレスゲート

※投資運用先銘柄に関するレポートをご所望の場合は、弊社にレポート作成を委託するよう
各企業に働きかけることをお勧めいたします。また、弊社に直接レポート作成をご依頼頂くことも可能です。

ディスクレーマー

本レポートは、情報提供のみを目的としております。投資に関する意見や判断を提供するものでも、投資の勧誘や推奨を意図したものでもありません。SR Inc.は、本レポートに記載されたデータの信憑性や解釈については、明示された場合と黙示の場合の両方につき、一切の保証を行わないものとします。SR Inc.は本レポートの使用により発生した損害について一切の責任を負いません。
本レポートの著作権、ならびに本レポートとその他Shared Researchレポートの派生品の作成および利用についての権利は、SR Inc.に帰属します。本レポートは、個人目的の使用においては複製および修正が許されていますが、配布・転送その他の利用は本レポートの著作権侵害に該当し、固く禁じられています。
SR Inc.の役員および従業員は、SR Inc.の調査レポートで対象としている企業の発行する有価証券に関して何らかの取引を行っており、または将来行う可能性があります。そのため、SR Inc.の役員および従業員は、該当企業に対し、本レポートの客観性に影響を与えうる利害を有する可能性があることにご留意ください。
SR Inc.の代表取締役は、本レポートの対象となる企業（株式会社ベルパーク）の社外取締役に就任しています。このことが、現在および将来において、直接的もしくは間接的に本レポートに記載される特定の見解に影響することはありません。

金融商品取引法に基づく表示

本レポートの対象となる企業への投資または同企業が発行する有価証券への投資についての判断につながる意見が本レポートに含まれている場合、その意見は、同企業からSR Inc.への対価の支払と引き換えに盛り込まれたものであるか、同企業とSR Inc.の間に存する当該対価の受け取りについての約束に基づいたものです。

連絡先

http://www.sharedresearch.jp
Email: info@sharedresearch.jp

株式会社シェアードリサーチ
東京都文京区千駄木 3-31-12
電話番号　(03) 5834-8787